

Bijsluiter: informatie voor de patiënt

Brineura 150 mg oplossing voor infusie cerliponase alfa

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring. Daardoor kan snel nieuwe veiligheidsinformatie worden vastgesteld. U kunt hieraan bijdragen door melding te maken van alle bijwerkingen die u eventueel zou ervaren. Aan het einde van rubriek 4 leest u hoe u dat kunt doen.

Lees goed de hele bijsluiter voordat u of uw kind dit geneesmiddel krijgt, want er staat belangrijke informatie in voor u.

- Bewaar deze bijsluiter. Misschien heeft u hem later weer nodig.
- Heeft u nog vragen? Neem dan contact op met uw arts.
- Krijgt u of uw kind last van een van de bijwerkingen die in rubriek 4 staan? Of krijgt u een bijwerking die niet in deze bijsluiter staat? Neem dan contact op met uw arts.

Inhoud van deze bijsluiter

1. Wat is Brineura en waarvoor wordt dit middel gebruikt?
2. Wanneer mag u of uw kind dit middel niet krijgen of moet u er extra voorzichtig mee zijn?
3. Hoe wordt dit middel gegeven?
4. Mogelijke bijwerkingen
5. Hoe bewaart u dit middel?
6. Inhoud van de verpakking en overige informatie

1. Wat is Brineura en waarvoor wordt dit middel gebruikt?

Brineura bevat de werkzame stof cerliponase alfa, dat behoort tot een groep geneesmiddelen die enzymvervangingstherapieën worden genoemd. Het wordt gebruikt om patiënten met neuronale ceroidlipofuscinose type 2 (CLN2), ook bekend als tripeptidylpeptidase 1 (TTP1-)deficiëntie, te behandelen.

Mensen met CLN2 missen het enzym dat TPP1 heet, of ze hebben er te weinig van. Dit veroorzaakt een opstapeling van stoffen die lysosomale opslagmaterialen worden genoemd. Bij mensen met CLN2 stapelen deze materialen zich op in bepaalde delen van het lichaam, hoofdzakelijk de hersenen.

Hoe werkt dit middel?

Dit geneesmiddel vervangt het ontbrekende enzym, TPP1, en beperkt zo de opstapeling van de lysosomale opslagmaterialen. Dit geneesmiddel werkt door de progressie van de ziekte te vertragen.

2. Wanneer mag u of uw kind dit middel niet krijgen of moet u er extra voorzichtig mee zijn?

Wanneer mag u dit middel niet krijgen?

- U of uw kind heeft een levensbedreigende allergische reactie gehad op cerliponase alfa of een van de andere stoffen in dit geneesmiddel. Deze stoffen kunt u vinden in rubriek 6. En deze reacties blijven optreden als cerliponase alfa opnieuw wordt gegeven.
- U of uw kind heeft een geïmplanteed toegangssysteem om extra vloeistof af te voeren uit de hersenen.
- U of uw kind heeft momenteel verschijnselen van een infectie door het toegangssysteem of problemen met het toegangssysteem. Uw arts kan besluiten om de behandeling voort te zetten zodra de infectie door het toegangssysteem of de problemen zijn verdwenen.

Wanneer moet u extra voorzichtig zijn met dit middel?

Neem contact op met uw arts voordat u of uw kind dit middel krijgt.

- U of uw kind kan problemen krijgen met het geïmplanteerde toegangssysteem dat wordt gebruikt tijdens de behandeling met Brineura (zie rubriek 4, Mogelijke bijwerkingen), met inbegrip van een infectie of een storing in het toegangssysteem. Teken dat u of uw kind mogelijk een infectie heeft, zijn onder andere koorts, hoofdpijn, stijfheid van de nek, lichtgevoeligheid, misselijkheid, braken en veranderingen in de psychische toestand. Teken van problemen met het systeem zijn onder andere zwelling, roodheid van de hoofdhuid, weglekken van vloeistof uit het systeem en uitstulping van de hoofdhuid. De behandeling kan worden onderbroken indien het toegangssysteem moet worden vervangen of totdat de infectie is verdwenen. Binnen 4 jaar na ingebruikname kan het nodig zijn het toegangssysteem te vervangen; hierover beslist uw arts. Neem contact op met uw arts als u vragen hebt over het toegangssysteem.
- Levensbedreigende allergische reacties (anafylactische reacties) zijn mogelijk met dit geneesmiddel. Uw arts zal u of uw kind observeren op verschijnselen van levensbedreigende allergische reacties, zoals netelroos, jeuk of blozen, gezwollen lippen, tong en/of keel, koude rillingen, versneld hartritme, kortademigheid, heesheid, blauw worden rond vingertoppen of lippen, lage spierspanning, flauwvallen, diarree of incontinentie. Als deze verschijnselen optreden, moet u direct medische hulp inroepen.
- Uw arts zal de hartslag, bloeddruk, ademhalingsfrequentie en temperatuur van u of uw kind vóór, tijdens en na de behandeling controleren. De arts kan besluiten tot extra controles als dat nodig is.
- Uw arts zal om de 6 maanden controleren op abnormale elektrische activiteit van het hart (ecg). Als u of uw kind een voorgeschiedenis van hartproblemen heeft, zal de arts of verpleegkundige uw hartactiviteit tijdens elke infusie controleren.
- Uw arts kan monsters hersenvloeistof opsturen om deze te laten controleren op tekenen van infectie.
- Dit geneesmiddel is niet eerder gegeven aan patiënten met gevorderde ziekte bij de start van de behandeling of aan kinderen jonger dan 2 jaar. Uw arts zal bespreken of behandeling met Brineura juist is voor u of uw kind.

Gebruikt u nog andere geneesmiddelen?

Gebruikt u of uw kind naast Brineura nog andere geneesmiddelen, heeft u of uw kind dat kort geleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat u of uw kind binnenkort andere geneesmiddelen gaat gebruiken? Vertel dat dan uw arts.

Zwangerschap, borstvoeding en vruchtbaarheid

Bent u zwanger, denkt u zwanger te zijn, wilt u zwanger worden of geeft u borstvoeding? Neem dan contact op met uw arts of voordat u dit geneesmiddel gebruikt.

U mag dit geneesmiddel niet krijgen tijdens de zwangerschap, tenzij dat duidelijk noodzakelijk is. Het is niet bekend of dit geneesmiddel schadelijk kan zijn voor uw ongeboren kind.

U mag dit geneesmiddel niet krijgen als u borstvoeding geeft. Het is niet bekend of dit geneesmiddel in de moedermelk terechtkomt.

Het is niet bekend of dit geneesmiddel invloed heeft op de vruchtbaarheid bij mensen.

Rijvaardigheid en het gebruik van machines

Het is niet bekend of dit geneesmiddel invloed heeft op de rijvaardigheid of op het vermogen om machines te bedienen. Vraag uw arts om meer informatie.

Brineura bevat natrium en kalium

Dit middel bevat 17,4 mg natrium (een belangrijk bestanddeel van keukenzout/tafelzout) per injectieflacon. Dit komt overeen met 0,87% van de aanbevolen maximale dagelijkse hoeveelheid natrium in de voeding voor een volwassene.

Dit middel bevat kalium, minder dan 1 mmol (39 mg) per injectieflacon, dat wil zeggen in wezen 'kaliumvrij'.

3. Hoe wordt dit middel gegeven?

U of uw kind zal een operatie moeten ondergaan om het toegangssysteem voor toediening van dit geneesmiddel te implanteren. Het toegangssysteem helpt het geneesmiddel om een specifiek deel van de hersenen te bereiken.

Dit geneesmiddel wordt gegeven door een arts die goed op de hoogte is van de toediening van geneesmiddelen voor intracerebroventriculair gebruik (infusie in de vloeistof van de hersenen) in een ziekenhuis of kliniek.

Dit geneesmiddel is niet gegeven aan patiënten jonger dan 2 jaar of ouder dan 8 jaar (bij de start van het klinische onderzoek). Er is beperkte ervaring bij enkele patiënten van 2 jaar oud.

De aanbevolen dosis van dit geneesmiddel is gebaseerd op de leeftijd van u of uw kind, en wordt om de andere week toegediend als volgt:

- geboorte tot < 6 maanden: 100 mg
- 6 maanden tot < 1 jaar: 150 mg
- 1 jaar tot < 2 jaar: 200 mg (eerste 4 doses), 300 mg (alle andere doses)
- \geq 2 jaar: 300 mg

Uw arts kan de dosis van u of uw kind of de tijdsduur waarin het geneesmiddel wordt gegeven aanpassen als de infusie niet wordt verdragen, als er een allergische reactie is of als de druk in de hersenen mogelijk is gestegen.

Het geneesmiddel wordt langzaam door het geïmplanteerde toegangssysteem gepompt. Nadat het geneesmiddel is gegeven, wordt een kortere infusie gegeven van een oplossing om dit middel uit de infusieapparatuur te spoelen, zodat de volledige dosis de hersenen bereikt. Het geneesmiddel en de oplossing worden gegeven gedurende 2 tot 4 uur en 30 minuten, overeenkomstig de dosis van u of uw kind. Uw arts kan de dosis of infusiesnelheid verlagen, op basis van uw respons tijdens de behandeling.

De arts kan u of uw kind vóór elke behandeling met dit middel geneesmiddelen geven, zoals koortswerende middelen of antihistaminica, om allergische reacties te behandelen, om de bijwerkingen die kunnen optreden tijdens of kort na de behandeling te verminderen.

Heeft u nog andere vragen over het gebruik van dit geneesmiddel? Neem dan contact op met uw arts.

4. Mogelijke bijwerkingen

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken.

Neem onmiddellijk contact op met uw arts of verpleegkundige als u een van de volgende bijwerkingen krijgt:

Bijwerkingen die zeer vaak voorkomen (bij meer dan 1 op de 10 gebruikers):

- convulsies (aanvallen van bewusteloosheid met spiertrekkingen)
- reacties tijdens of kort nadat het geneesmiddel is gegeven, zoals netelroos, jeuk of blozen, gezwollen lippen, tong en/of keel, kortademigheid, heesheid, blauw worden rond de vingertoppen of lippen, lage spierspanning, flauwvallen of het niet kunnen ophouden van urine en/of ontlasting (incontinentie)

Bijwerkingen die vaak voorkomen (bij minder dan 1 op de 10 gebruikers):

- bacteriële infecties die verband houden met het toegangssysteem
- ernstige allergische reactie (anafylactische reacties)

Niet bekend (kan met de beschikbare gegevens niet worden bepaald):

- ontsteking van de hersenen (meningitis) ten gevolge van een infectie die verband houdt met het systeem

Dit geneesmiddel kan andere bijwerkingen veroorzaken:

Bijwerkingen die zeer vaak voorkomen (bij meer dan 1 op de 10 gebruikers):

- koorts
- braken
- prikkelbaarheid
- hoofdpijn
- verhoogd of verlaagd eiwitgehalte in de hersenvloeistof, bepaald in laboratoriumonderzoek
- abnormale resultaten van de elektrische activiteit van het hart (ecg)
- toegenomen aantal cellen in de ruggenmergvloeistof, bepaald in laboratoriumonderzoek
- infectie van uw neus of keel (verkoudheid)
- probleem met de naald (de infuusnaald valt uit het geïmplanteerde toegangssysteem)

Bijwerkingen die vaak voorkomen (bij minder dan 1 op de 10 gebruikers):

- tragere hartslag
- toegangssysteem functioneert niet correct door een verstopping opgemerkt tijdens de voorbereiding voor de infusie
- pijn
- uitslag
- netelroos
- omlaag vallen van het hoofd (zodat de kin richting de borst gaat)
- maagpijn
- lekkage van het toegangssysteem
- blaren in de mond of op de tong
- zwelling of roodheid van het ooglid en het witte deel van het oog (conjunctivitis)
- zenuwachtigheid
- aandoening van de maag of darmen

Niet bekend (kan met de beschikbare gegevens niet worden bepaald):

- toegangssysteem is verplaatst en functioneert niet correct bij voorbereiding voor infusie

Het melden van bijwerkingen

Krijgt u of uw kind last van bijwerkingen, neem dan contact op met uw arts. Dit geldt ook voor mogelijke bijwerkingen die niet in deze bijsluiter staan. U kunt bijwerkingen ook rechtstreeks melden via [het nationale meldsysteem zoals vermeld in aanhangsel V](#). Door bijwerkingen te melden, kunt u ons helpen meer informatie te verkrijgen over de veiligheid van dit geneesmiddel.

5. Hoe bewaart u dit middel

Buiten het zicht en bereik van kinderen houden.

Gebruik dit geneesmiddel niet meer na de uiterste houdbaarheidsdatum. Die vindt u op de injectieflacons en doos na EXP. Daar staan een maand en een jaar. De laatste dag van die maand is de uiterste houdbaarheidsdatum.

Rechtop bewaren in de vriezer (-25 °C tot -15 °C). Bewaren in de oorspronkelijke verpakking ter bescherming tegen licht. Bevroren transporteren en distribueren (-85 °C tot -15 °C).

Ontdooide Brineura en spoeloplossing dienen onmiddellijk te worden gebruikt. Dit geneesmiddel mag pas onmiddellijk voor gebruik worden opgezogen uit de ongeopende injectieflacons. Als onmiddellijk gebruik niet mogelijk is, dienen de ongeopende injectieflacons Brineura of spoeloplossing in de koelkast te worden bewaard (2 °C – 8 °C) en binnen 24 uur te worden gebruikt.

De chemische en fysische stabiliteit bij gebruik zijn aangetoond gedurende maximaal 12 uur bij kamertemperatuur (19 °C – 25 °C). Vanuit microbiologisch oogpunt dienen de open injectieflacons of het geneesmiddel in injectiespuiten onmiddellijk worden gebruikt. Indien het middel niet onmiddellijk wordt gebruikt, vallen de bewaartijden en -omstandigheden voor gebruik onder de verantwoordelijkheid van de gebruiker.

Uw arts of apotheker is verantwoordelijk voor het bewaren van dit middel. Zij zijn ook verantwoordelijk voor de juiste afvoer van al het ongebruikte geneesmiddel.

6. Inhoud van de verpakking en overige informatie

Welke stoffen zitten er in dit middel?

- De werkzame stof in dit middel is cerliponase alfa. Elke injectieflacon met Brineura bevat 150 mg cerliponase alfa in 5 ml oplossing. Elke ml oplossing voor infusie bevat 30 mg cerliponase alfa.
- De andere stoffen in Brineura oplossing voor infusie en de spoeloplossing zijn: natriumfosfaat dibasisch heptahydraat, natriumdiwaterstoffosfaatmonohydraat, natriumchloride, kaliumchloride, magnesiumchloridehexahydraat, calciumchloridedihydraat en water voor injecties (zie rubriek 2)

Hoe ziet Brineura eruit en hoeveel zit er in een verpakking?

Brineura en de spoeloplossing zijn oplossingen voor infusie. De Brineura oplossing voor infusie is helder tot enigszins doorschijnend, kleurloos tot lichtgeel en kan soms dunne doorschijnende vezels of ondoorschijnende deeltjes bevatten. De spoeloplossing is helder en kleurloos.

Verpakkingsgrootte: elke verpakking bevat twee injectieflacons met Brineura oplossing voor infusie en één injectieflacon met spoeloplossing, elk met 5 ml oplossing.

Houder van de vergunning voor het in de handel brengen en fabrikant

BioMarin International Limited
Shanbally, Ringaskiddy
County Cork
Ierland

Deze bijsluiter is voor het laatst goedgekeurd in

Dit geneesmiddel is geregistreerd met als kanttekening dat er uitzonderlijke voorwaarden waren. Het was tijdens de registratie niet mogelijk om volledige informatie over dit geneesmiddel te verkrijgen vanwege de zeldzaamheid van de ziekte waar het voor bedoeld is.

Het Europees Geneesmiddelenbureau zal ieder jaar mogelijke nieuwe informatie over het geneesmiddel beoordelen. Als dat nodig is, zal deze bijsluiter worden aangepast.

Andere informatiebronnen

Meer informatie over dit geneesmiddel is beschikbaar op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: <http://www.ema.europa.eu>. Hier vindt u ook verwijzingen naar andere websites over zeldzame ziektes en hun behandelingen.