

Folheto informativo: Informação para o doente

Brineura 150 mg solução para perfusão cerliponase alfa

▼ Este medicamento está sujeito a monitorização adicional. Isto irá permitir a rápida identificação de nova informação de segurança. Poderá ajudar, comunicando quaisquer efeitos indesejáveis que tenha. Para saber como comunicar efeitos indesejáveis, veja o final da secção 4.

Leia com atenção todo este folheto antes de este medicamento ser administrado a si ou ao seu filho, pois contém informação importante para si.

- Conserve este folheto. Pode ter necessidade de o ler novamente.
- Caso ainda tenha dúvidas, fale com o seu médico.
- Se você ou o seu filho tiver quaisquer efeitos indesejáveis, incluindo possíveis efeitos indesejáveis não indicados neste folheto, fale com o seu médico. Ver secção 4.

O que contém este folheto

1. O que é Brineura e para que é utilizado
2. O que precisa de saber antes de Brineura lhe ser administrado ou ao seu filho
3. Como Brineura é administrado
4. Efeitos indesejáveis possíveis
5. Como conservar Brineura
6. Conteúdo da embalagem e outras informações

1. O que é Brineura e para que é utilizado

Brineura contém a substância ativa cerliponase alfa, que pertence a um grupo de medicamentos conhecidos como terapêuticas de substituição enzimática. É utilizado para tratar doentes com ceroidolipofuscinose neuronal tipo 2 (CLN2), também conhecida como deficiência de tripeptidil peptidase 1 (TPP1).

As pessoas com CLN2 não possuem ou possuem muito poucas enzimas chamadas TPP1 e isto faz com que haja uma acumulação de substâncias designadas por materiais de depósito lisossómico. Em pessoas com CLN2, estes materiais acumulam-se em determinadas partes do corpo, principalmente no cérebro.

Como funciona Brineura

Este medicamento substitui a enzima que está em falta, a TPP1, o que minimiza a acumulação dos materiais de depósito lisossómico. Este medicamento atua para retardar a progressão da doença.

2. O que precisa de saber antes de Brineura lhe ser administrado ou ao seu filho

Não utilize Brineura

- Se você ou o seu filho teve reações alérgicas potencialmente fatais à cerliponase alfa ou a qualquer outro componente deste medicamento (indicados na secção 6) e se estas reações continuam a ocorrer quando a cerliponase alfa é administrada de novo.
- Se você ou o seu filho tem um dispositivo implantado para drenar os fluidos cerebrais excedentes.
- Se você ou seu filho apresenta atualmente problemas ou sinais de infeção relacionados com o dispositivo. O seu médico pode decidir continuar com o tratamento logo que os problemas ou sinais de infeção relacionados com o dispositivo estejam resolvidos.

Advertências e precauções

Fale com o seu médico antes de Brineura lhe ser administrado ou ao seu filho.

- Você ou o seu filho poderá ter problemas com o dispositivo implantado utilizado durante o tratamento com Brineura (ver secção 4 «Efeitos indesejáveis possíveis»), incluindo infecções ou uma falha no dispositivo. Os sinais de que você ou o seu filho pode ter uma infecção incluem febre, dores de cabeça, rigidez do pescoço, sensibilidade à luz, náuseas, vômitos e alteração do estado mental. Os sinais de problemas com o dispositivo incluem inchaço, vermelhidão do couro cabeludo, fuga de fluido do dispositivo e abaulamento do couro cabeludo. O tratamento poderá ser interrompido se o dispositivo tiver de ser substituído ou até a infecção desaparecer. No espaço de 4 anos de utilização, o seu médico poderá determinar que é necessário substituir o dispositivo de acesso. Fale com seu médico se tem alguma dúvida sobre o dispositivo.
- São possíveis reações alérgicas potencialmente fatais (reações anafiláticas) com este medicamento. O seu médico irá proceder à sua monitorização ou à monitorização do seu filho relativamente a sintomas de reações alérgicas potencialmente fatais como urticária, comichão ou rubor, inchaço nos lábios, na língua e/ou na garganta, arrepios, ritmo cardíaco acelerado, falta de ar, rouquidão, lábios ou pontas dos dedos roxas, baixo tónus muscular, desmaio, diarreia ou incontinência. Procure auxílio médico imediatamente se estes sintomas ocorrerem.
- Antes, durante e após o tratamento, o seu médico irá avaliar em si ou no seu filho a frequência cardíaca, a tensão arterial, a frequência respiratória e a temperatura. O médico poderá optar por efetuar monitorização adicional se for necessário.
- A cada 6 meses, o seu médico irá avaliar a existência de atividades elétricas anormais (ECG). Se você ou o seu filho tiver história de problemas cardíacos, o seu médico ou enfermeiro vai monitorizar a atividade cardíaca durante todas as perfusões.
- O seu médico poderá enviar para análise amostras de fluido cerebral para verificar se há sinais de infecção.
- Este medicamento não foi administrado em doentes com doença avançada no momento do início do tratamento nem em crianças com menos de 2 anos de idade. O seu médico irá discutir consigo se o tratamento com Brineura é adequado para si ou o seu filho.

Outros medicamentos e Brineura

Informe o seu médico se você ou o seu filho estiver a tomar, tiver tomado recentemente, ou se vier a tomar outros medicamentos.

Gravidez, amamentação e fertilidade

Se está grávida ou a amamentar, se pensa estar grávida ou planeia engravidar, consulte o seu médico antes de utilizar este medicamento.

Não deve receber este medicamento durante a gravidez, a menos que tal seja claramente necessário. Não se sabe se este medicamento é nocivo para o feto.

Não deve receber este medicamento se estiver a amamentar. Não se sabe se este medicamento é excretado no leite materno humano.

Não se sabe se este medicamento tem impacto na fertilidade humana.

Condução de veículos e utilização de máquinas

Desconhece-se se este medicamento terá impacto sobre a capacidade de conduzir ou utilizar máquinas. Consulte o seu médico.

Brineura contém sódio e potássio

Este medicamento contém 17,4 mg de sódio (principal componente de sal de cozinha/sal de mesa) em cada frasco para injetáveis. Isto é equivalente a 0,87% da ingestão diária máxima de sódio recomendada na dieta para um adulto.

Este medicamento contém menos do que 1 mmol (39 mg) de potássio por frasco para injetáveis, ou seja, é praticamente “isento de potássio”.

3. Como Brineura é administrado

Você ou o seu filho terá de se submeter a uma cirurgia para implantar o dispositivo que administra este medicamento. O dispositivo ajuda o medicamento a chegar a uma parte específica do cérebro.

Este medicamento será administrado num hospital ou numa clínica por um médico com experiência na administração de medicamentos de uso intracerebroventricular (perfusão para o fluido cerebral).

Este medicamento não foi administrado em doentes com idade inferior a 2 anos nem superior a 8 anos (no início do ensaio clínico). Há uma experiência limitada em alguns doentes com 2 anos de idade.

A dose recomendada deste medicamento depende da sua idade ou da idade do seu filho e é administrada em semanas alternadas da seguinte forma:

- menos de 6 meses: 100 mg
- a partir dos 6 meses até menos de 1 ano: 150 mg
- a partir de 1 ano até menos de 2 anos: 200 mg (4 primeiras doses), 300 mg (todas as restantes doses)
- 2 anos ou mais: 300 mg

O seu médico poderá ajustar a sua dose ou a dose do seu filho ou a duração da administração do medicamento se a perfusão não for tolerada, se houver uma reação alérgica ou se houver um possível aumento da pressão no cérebro.

O medicamento é bombeado lentamente através do dispositivo implantado. Após a administração do medicamento, é aplicada uma perfusão mais curta de uma solução para que Brineura não fique retido no equipamento de perfusão, garantindo assim que a dose total atinge o cérebro. O medicamento e a solução serão administrados ao longo de aproximadamente 2 a 4 horas e 30 minutos de acordo com a sua dose ou com a dose do seu filho. O seu médico poderá diminuir a dose ou a velocidade da perfusão com base na sua resposta durante o tratamento.

Antes de cada tratamento com este medicamento, o seu médico poderá dar-lhe a si ou ao seu filho medicamentos como antipiréticos para baixar a febre ou anti-histamínicos para tratar reações alérgicas com vista a reduzir os efeitos indesejáveis que podem ocorrer durante ou logo após o tratamento.

Caso ainda tenha dúvidas sobre a utilização deste medicamento, fale com o seu médico.

4. Efeitos indesejáveis possíveis

Como todos os medicamentos, este medicamento pode causar efeitos indesejáveis, embora estes não se manifestem em todas as pessoas.

Fale imediatamente com o seu médico ou enfermeiro se sentir qualquer um dos seguintes efeitos:

- Efeitos indesejáveis muito frequentes (podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas): convulsões
- reações que podem ocorrer durante ou logo após administrar o medicamento, como por exemplo urticária, comichão ou rubor, inchaço nos lábios, na língua e/ou na garganta, falta de ar, rouquidão, lábios ou pontas dos dedos roxas, baixo tônus muscular, desmaio ou incontinência.

Efeitos indesejáveis frequentes (podem afetar até 1 em cada 10 pessoas):

- infeções bacterianas relacionadas com o dispositivo reação alérgica grave (reações anafiláticas).

Desconhecidos (a frequência não pode ser calculada a partir dos dados disponíveis):

- inflamação do cérebro (meningite) devido a infeção relacionada com o dispositivo.

Este medicamento poderá causar outros efeitos indesejáveis:

Efeitos indesejáveis muito frequentes (podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas):

- febre
- vômitos
- sensação de irritabilidade
- dor de cabeça
- níveis proteicos aumentados ou diminuídos no fluído cerebral, detetado na monitorização laboratorial
- resultados anormais de atividade elétrica do coração (ECG)
- aumento da contagem de células no líquido cefalorraquidiano detetado na monitorização laboratorial
- infeção do nariz ou garganta (constipação)
- problema com a agulha (a agulha de perfusão sai do dispositivo implantado).

Efeitos indesejáveis frequentes (podem afetar até 1 em cada 10 pessoas):

- ritmo cardíaco mais lento
- funcionamento incorreto do dispositivo devido a bloqueio detetado durante a preparação para perfusão
- dor
- erupção cutânea
- urticária
- cabeça caída (de forma que o queixo cai em direção ao peito)
- dor no estômago
- fuga do dispositivo
- bolhas na boca ou na língua
- inchaço ou vermelhidão da pálpebra e da parte branca do olho (conjuntivite)
- sensação de nervosismo
- perturbações do estômago ou intestinos.

Desconhecidos (a frequência não pode ser calculada a partir dos dados disponíveis):

- deslocação do dispositivo e funcionamento incorreto durante a preparação para a perfusão.

Comunicação de efeitos indesejáveis

Se você ou o seu filho tiver quaisquer indesejáveis, incluindo possíveis efeitos indesejáveis não indicados neste folheto, fale com o seu médico. Também poderá comunicar efeitos indesejáveis diretamente através do sistema nacional de notificação mencionado no [Apêndice V](#). Ao comunicar efeitos indesejáveis, estará a ajudar a fornecer mais informações sobre a segurança deste medicamento.

5. Como conservar Brineura

Manter este medicamento fora da vista e do alcance das crianças.

Não utilize este medicamento após o prazo de validade impresso no frasco para injetáveis e na cartonagem após VAL. O prazo de validade corresponde ao último dia do mês indicado.

Conservar na posição vertical no congelador (-25 °C a -15 °C). Conservar na embalagem de origem para proteger da luz. Transportar e distribuir congelado (-85 °C a -15 °C).

A solução de Brineura e a solução de lavagem devem ser utilizadas de imediato. O medicamento só deve ser retirado dos frascos para injetáveis não abertos imediatamente antes da utilização. Se não for possível a sua utilização imediata, os frascos para injetáveis não abertos de Brineura ou de solução de lavagem devem ser conservados no frigorífico (2 °C – 8 °C) e usados dentro de 24 horas.

A estabilidade química e física durante a utilização foi demonstrada durante um período de até 12 horas à temperatura ambiente (19 °C – 25 °C). De um ponto de vista microbiológico, os frascos

para injetáveis abertos ou medicamentos mantidos em seringas devem ser utilizados imediatamente. Caso não sejam utilizados de imediato, os tempos de utilização e as condições de conservação antes da utilização são da responsabilidade do utilizador.

O seu médico ou farmacêutico são responsáveis por armazenar Brineura. Também são responsáveis pela eliminação de qualquer porção de Brineura não utilizada.

6. Conteúdo da embalagem e outras informações

Qual a composição de Brineura

- A substância ativa é a cerliponase alfa. Cada frasco para injetáveis de Brineura contém 150 mg de cerliponase alfa em 5 ml de solução. Cada mililitro da solução para perfusão contém 30 mg de cerliponase alfa.
- Os outros componentes de Brineura solução para perfusão e da solução de lavagem são: fosfato de sódio dibásico hepta-hidratado, dihidrogenofosfato de sódio mono-hidratado, cloreto de sódio, cloreto de potássio, cloreto de magnésio hexa-hidratado, cloreto de cálcio di-hidratado e água para preparações injetáveis (ver secção 2 «Brineura contém sódio e potássio»).

Qual o aspeto de Brineura e conteúdo da embalagem

Brineura e a solução de lavagem são soluções para perfusão. Brineura solução para perfusão é uma solução límpida a ligeiramente opalescente, incolor a amarelo-clara, podendo ocasionalmente conter fibras translúcidas finas ou partículas opacas. A solução de lavagem é límpida e incolor.

Tamanho da embalagem: cada embalagem contém dois frascos para injetáveis de Brineura solução para perfusão e um frasco para injetáveis de solução de lavagem, cada um com 5 ml de solução.

Titular da Autorização de Introdução no Mercado e Fabricante

BioMarin International Limited
Shanbally, Ringaskiddy
County Cork
Irlanda

Este folheto foi revisto pela última vez em

Foi concedida a este medicamento uma «Autorização de Introdução no Mercado em circunstâncias excepcionais». Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre este medicamento devido à raridade desta doença.

A Agência Europeia de Medicamentos irá rever, pelo menos uma vez por ano, qualquer nova informação sobre este medicamento e este folheto será atualizado se necessário.

Outras fontes de informação

Está disponível informação pormenorizada sobre este medicamento no sítio da internet da Agência Europeia de Medicamentos: <http://www.ema.europa.eu>. Também existem *links* para outros sítios da internet sobre doenças raras e tratamentos.