

Bipacksedel: Information till användaren

▼ Detta läkemedel är föremål för utökad övervakning. Detta kommer att göra det möjligt att snabbt identifiera ny säkerhetsinformation. Du kan hjälpa till genom att rapportera de biverkningar du eventuellt får. Information om hur du rapporterar biverkningar finns i slutet av avsnitt Biverkningar.

Brineura

150 mg infusionsvätska, lösning
cerliponas alfa

Läs noga igenom denna bipacksedel innan du eller ditt barn får detta läkemedel. Den innehåller information som är viktig för dig.

- Spara denna information. Du kan behöva läsa den igen.
- Om du har ytterligare frågor, vänd dig till läkare.
- Om du eller ditt barn får biverkningar, tala med läkare. Detta gäller även eventuella biverkningar som inte nämns i denna information. Se avsnitt 4.

I denna bipacksedel finner du information om:

1. Vad Brineura är och vad det används för
2. Vad du behöver veta innan du eller ditt barn får Brineura
3. Hur du får Brineura
4. Eventuella biverkningar

5. Hur Brineura ska förvaras

6. Förpackningens innehåll och övriga upplysningar

1. Vad Brineura är och vad det används för

Brineura innehåller den aktiva substansen cerliponas alfa, som tillhör en grupp av läkemedel som kallas enzymsättningssterapier. Det används för att behandla patienter med sjukdomen neuronal ceroidlipofusinos typ 2 (CLN2), som även kallas tripeptidylpeptidas 1 (TPP1)-brist.

Personer med sjukdomen CLN2 saknar, eller har för lite av ett enzym som kallas TPP1. Detta orsakar en ansamling av substanser som kallas lysosomala lagringsmaterial. Hos personer med sjukdomen CLN2 ansamlas dessa material i vissa delar av kroppen, huvudsakligen i hjärnan.

Hur Brineura fungerar

Detta läkemedel ersätter det saknade enzymet TPP1, vilket minimerar ansamlingen av lysosomala lagringsmaterial. Detta läkemedel fungerar för att bromsa sjukdomsförloppet.

2. Vad du behöver veta innan du eller ditt barn får Brineura

Du får inte använda Brineura

- om du eller ditt barn har haft livshotande allergiska reaktioner mot cerliponas alfa eller något annat innehållsämne i detta läkemedel (anges i avsnitt 6) och reaktionen fortsätter att inträffa när cerliponas alfa ges igen.

- om du eller ditt barn har ett rör implanterat för att dränera överskottsvätska från hjärnan.
- om du eller ditt barn för tillfället har tecken på en infektion som kan bero på den implanterade enheten som används under behandlingen, eller om det är problem med enheten. Läkaren kan besluta att fortsätta med behandlingen när den enhetsrelaterade infektionen eller problemen har lösts.

Varningar och försiktighet

Tala med läkare innan du eller ditt barn får Brineura.

- Du eller ditt barn kan få problem med den implanterade enheten som används under behandlingen med Brineura (se avsnitt 4 "Eventuella biverkningar"), inklusive infektion eller ett fel i enheten. Tecken på att du eller ditt barn kan ha en infektion omfattar feber, huvudvärk, stelhet i nacken, ljuskänslighet, illamående, kräkningar och förändrat sinnestillstånd. Tecken på problem med enheten omfattar svullnad, rodnad i hårbotten, vätskeläckage från enheten och utbuktning av hårbotten. Behandlingen kan avbrytas om enheten måste bytas ut eller tills infektionen är borta. Inom 4 års användning kan åtkomstenheten behöva bytas ut, vilket bestäms av din läkare. Tala med läkare om du har några frågor angående din enhet.
- Livshotande allergiska reaktioner (anafylaktiska reaktioner) är möjliga med detta läkemedel. Läkaren kommer att följa upp dig eller ditt barn beträffande symtom på livshotande allergiska reaktioner: nässelutslag, klåda eller rodnad, svullna läppar, tunga och/eller hals, frossa, ökad hjärtrytm, andnöd,

heshet, blir blå runt fingertoppar eller läppar, låg muskeltonus, svimning, diarré eller inkontinens. Sök omedelbart medicinsk vård om dessa symtom uppkommer.

- Läkaren kommer att kontrollera ditt eller ditt barns hjärtfrekvens, blodtryck, andningsfrekvens och temperatur före, under och efter behandling. Läkaren kan besluta att utföra ytterligare kontroller om det behövs.
- Läkaren kommer var 6:e månad att kontrollera om onormal elektrisk aktivitet i hjärtat (EKG) föreligger. Om du eller ditt barn tidigare haft hjärtproblem, kommer läkaren eller sjuksköterskan att övervaka din hjärtaktivitet under varje infusion.
- Läkaren ska skicka prover av hjärnvätskan för kontroll beträffande tecken på infektion.
- Detta läkemedel har inte givits till patienter med tecken på avancerad sjukdom vid behandlingsstart eller till barn yngre än 2 år. Din läkare kommer att diskutera om behandling med Brineura är rätt för dig eller ditt barn.

Andra läkemedel och Brineura

Tala om för läkare om du eller ditt barn tar, nyligen har tagit eller kan tänkas ta andra läkemedel.

Graviditet, amning och fertilitet

Om du är gravid eller ammar, tror att du kan vara gravid eller planerar att skaffa barn, rådfråga läkare före behandling med detta läkemedel.

Du bör inte behandlas med detta läkemedel under graviditet såvida det inte är absolut nödvändigt. Det är okänt om detta läkemedel kan skada ditt ofödda barn.

Du bör inte behandlas med detta läkemedel om du ammar. Det är okänt om detta läkemedel utsöndras i bröstmjölk.

Det är okänt om detta läkemedel påverkar förmågan att få barn.

Körförmåga och användning av maskiner

Det är inte känt om detta läkemedel påverkar förmågan att framföra fordon och använda maskiner. Rådfråga läkaren.

Brineura innehåller natrium och kalium

Detta läkemedel innehåller 17,4 mg natrium (huvudingrediensen i koksalt/bordssalt) per injektionsflaska. Detta motsvarar 0,87 % av högsta rekommenderat dagligt intag av natrium för vuxna.

Detta läkemedel innehåller mindre än 1 mmol (39 mg) kalium per injektionsflaska, d.v.s. är näst intill "kaliumfritt".

3. Hur du får Brineura

Du eller ditt barn måste genomgå kirurgi för att implantera enheten för att få detta läkemedel. Enheten hjälper läkemedlet att nå en specifik del av hjärnan.

Detta läkemedel ges av en läkare med kunskap i att ge läkemedel intracerebroventrikulärt (infusion till de vätskefyllda hålrummen i hjärnan) på ett sjukhus eller klinik.

Detta läkemedel har inte givits till barn yngre än 2 år eller till barn äldre än 8 år (vid starten av den kliniska prövningen). Det finns begränsad erfarenhet från enstaka patienter som är 2 år.

Rekommenderad dos för detta läkemedel är baserad på din eller ditt barns ålder och ges en gång varannan vecka enligt följande:

- 0 till yngre än 6 månader: 100 mg
- 6 månader till yngre än 1 år: 150 mg
- 1 år till yngre än 2 år: 200 mg (första 4 doserna), 300 mg (alla andra doser)
- 2 år och äldre: 300 mg

Läkaren kan justera din eller ditt barns dosering eller infusionstiden för läkemedlet om kroppen inte tål infusionen, om det uppstår en allergisk reaktion eller om det finns tecken på en möjlig tryckökning i hjärnan.

Läkemedlet pumpas långsamt genom den implanterade enheten. När läkemedlet har givits, ges en kortare infusion med en lösning för att spola ut Brineura ur infusionsutrustningen så att hela dosen når hjärnan. Läkemedlet och lösningen ges under ungefär 2 till 4 ½ timme, beroende på dosen som ska ges. Läkaren kan sänka dos en eller infusionshastigheten baserat på hur behandlingen fungerar.

Läkaren kan ge dig eller ditt barn febernedsättande läkemedel, eller antihistamin för att behandla allergiska reaktioner, före varje behandling med detta läkemedel för att minska de biverkningar som kan uppstå under eller strax efter behandling.

Om du har ytterligare frågor om detta läkemedel, kontakta läkare.

4. Eventuella biverkningar

Liksom alla läkemedel kan detta läkemedel orsaka biverkningar, men alla användare behöver inte få dem.

Tala med läkare eller sjuksköterska omedelbart om du upplever något av följande:

Mycket vanliga biverkningar (kan förekomma hos fler än 1 av 10 personer):

- kramper (krampanfall)
- reaktioner under eller strax efter läkemedlet har givits, som nässelutslag, klåda eller rodnad, svullna läppar, tunga och/eller hals, andnöd, heshet, blir blå runt fingertoppar eller läppar, låg muskeltonus, svimning eller inkontinens.

Vanliga biverkningar (kan förekomma hos upp till 1 av 10 personer):

- bakteriella infektioner som har samband med den implanterade enheten
- svår allergisk reaktion (anafylaktiska reaktioner).

Ingen känd frekvens (kan inte beräknas baserat på tillgängliga data)

- inflammation i hjärnan (meningit) på grund av enhetsrelaterad infektion.

Detta läkemedel kan orsaka andra biverkningar:

Mycket vanliga biverkningar (kan förekomma hos fler än 1 av 10 personer):

- feber
- kräkningar
- lättretlighet
- huvudvärk
- ökad eller minskad proteinhalt i hjärnvätskan vilket upptäcks genom laborieprover
- onormalt EKG
- ökat antal celler i ryggmärgsvätskan vilket upptäcks genom laborieprover
- infektion i näsan eller halsen (förkylning)
- nålproblem (infusionsnålen lossnar från den implanterade enheten).

Vanliga biverkningar (kan förekomma hos upp till 1 av 10 personer):

- långsammare puls
- enheten fungerar inte på rätt sätt på grund av en blockering som upptäcks under förberedelsen av infusionen
- smärta
- utslag
- nässelutslag
- huvudsänkning (så att hakan faller ned mot bröstet)
- magont
- läckage av enheten
- blåsor i munnen eller på tungan
- svullnad eller rodnad av ögonlock och den vita delen av ögat (konjunktivit)

- nervositet
- störningar i magen och tarmarna.

Ingen känd frekvens (kan inte beräknas från tillgängliga data):

- enheten förflyttas och fungerar inte på rätt sätt vid förberedelsen av infusionen

Rapportering av biverkningar

Om du får biverkningar, tala med läkare, apotekspersonal eller sjuksköterska. Detta gäller även eventuella biverkningar som inte nämns i denna information. Du kan också rapportera biverkningar direkt till Läkemedelsverket, www.lakemedelsverket.se. Genom att rapportera biverkningar kan du bidra till att öka informationen om läkemedels säkerhet. Postadress

Läkemedelsverket

Box 26

751 03 Uppsala

5. Hur Brineura ska förvaras

Förvara detta läkemedel utom syn- och räckhåll för barn.

Används före utgångsdatum som anges på injektionsflaskorna och förpackningen efter EXP. Utgångsdatumet är den sista dagen i angiven månad.

Förvaras upprätt i djupfryst tillstånd (-25 °C till -15 °C). Förvaras i originalförpackningen. Ljuskänsligt. Transporteras och distribueras i djupfryst tillstånd (-85 °C till -15 °C)

Upptinad Brineura och spollösning ska användas omedelbart. Detta läkemedel ska endast dras upp ur oöppnade injektionsflaskor omedelbart före användning. Om omedelbar användning inte är möjlig ska oöppnade injektionsflaskor med Brineura och spollösning förvaras i kylskåp (2 °C – 8 °C) och användas inom 24 timmar.

Kemisk och fysikalisk stabilitet under användning har visats för upp till 12 timmar vid rumstemperatur (19 °C – 25 °C). Från en mikrobiologisk synvinkel ska öppnade injektionsflaskor eller läkemedel som finns i sprutor användas omedelbart. Om de inte används omedelbart är användaren ansvarig för förvaringstid och förvaringsförhållanden före användning.

Läkare eller apotekspersonal ansvarar för förvaringen av Brineura. De är även ansvariga för korrekt kassering av eventuellt oanvänd Brineura.

6. Förpackningens innehåll och övriga upplysningar

Innehållsdeklaration

- Den aktiva substansen är cerliponas alfa. 1 injektionsflaska med Brineura innehåller 150 mg cerliponas alfa i 5 ml lösning. 1 ml infusionsvätska, lösning innehåller 30 mg cerliponas alfa.
- Övriga innehållsämnen i Brineura infusionsvätska, lösning och spollösningen är: natriumfosfat dibasisk heptahydrat, natriumdivätefosfatmonohydrat, natriumklorid, kaliumklorid, magnesiumkloridhexahydrat, kalciumkloriddihydrat och vatten för injektionsvätskor (se avsnitt 2 "Brineura innehåller natrium och kalium").

Läkemedlets utseende och förpackningsstorlekar

Brineura och spollösningen är lösningar för infusion. Brineura infusionsvätska, lösning är klar till något opalescent, färglös till svagt gul och kan ibland innehålla tunna genomskinliga fibrer eller ogenomskinliga partiklar. Spollösningen är klar och färglös.

Förpackningsstorlek: Varje förpackning innehåller två injektionsflaskor med Brineura infusionsvätska, lösning och en injektionsflaska med spollösning, varje injektionsflaska innehåller 5 ml lösning.

Innehavare av godkännande för försäljning och tillverkare

BioMarin International Limited
Shanbally, Ringaskiddy
County Cork
Irland

Denna bipacksedel ändrades senast 2022-03-28. Detta läkemedel har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om detta läkemedel eftersom sjukdomen är sällsynt. Europeiska läkemedelsmyndigheten går varje år igenom all ny information som kan ha kommit fram om detta läkemedel och uppdaterar denna bipacksedel när så behövs.

Övriga informationskällor

Ytterligare information om detta läkemedel finns på Europeiska läkemedelsmyndighetens webbplats: <http://www.ema.europa.eu>. Där finns också länkar till andra webbplatser rörande sällsynta sjukdomar och behandlingar.