

03/2013 : EMA/Désignation médicament orphelin

05/2017 : ANSM/Début ATU de cohorte.

05/2017 : EMA/AMM européenne (sous circonstances exceptionnelles) pour le traitement des patients atteints de céréoïde-lipofuscinose neuronale de type 2 (CLN2), également appelée déficit en tripeptidyl peptidase-1 (TPP1).

06/2017 : HAS/Avis du collège de la HAS (21/06/2017) portant sur l'identification d'alternatives thérapeutiques prises en charge par les régimes obligatoires de sécurité sociale pour un médicament en post-ATU → indication AMM identique à celle définie dans l'ATUc (absence d'identification d'alternatives thérapeutiques).

08/2017 : ANSM/Fin ATU de cohorte (30/08/2017).

06/2018 : HAS/Avis CT (avis du 20/06/2018)

→ **SMR important, ASMR III (modérée)**

→ **Place dans la stratégie thérapeutique : traitement enzymatique substitutif de 1^{ère} intention** qui permet de ralentir l'évolution de la maladie, sur ses composantes motricité et langage (à mettre en place aux stades les plus précoces de progression de la maladie).

→ **Recommandations** : La Commission souhaite avoir

- communication des données du registre de patients atteints de CLN2 demandé par l'AMM, en particulier : les caractéristiques des patients traités par BRINEURA incluant l'âge, le stade de CLN2 (score ML), l'âge au moment du diagnostic, la description clinique ; les caractéristiques du traitement par BRINEURA incluant : la posologie administrée, la durée de traitement, les traitements administrés en association avec BRINEURA, les motifs de l'arrêt du traitement ; les critères d'efficacité et de tolérance de BRINEURA avec notamment l'évolution du score ML sous traitement,
- connaissance de premiers résultats dans un délai maximal de 5 ans.

11/2020 : JO/Publication des arrêtés de prise en charge signant la fin du dispositif post-ATU :

- Agrément aux collectivités (JO20/11/2020)
- Inscription sur la liste en sus (JO20/11/2020)
- Prix : 20 223,65 € TTC (JO20/11/2020)

02/2021 : JO / Baisse de prix (tarif de responsabilité) au 01/03/2021

- Baisse de 3% (JO 24/02/2021)