

Cerezyme
*imigluceraza***Povzetek EPAR za javnost**

Ta dokument je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR). Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil opravljene študije, na podlagi katerih je oblikoval priporočila glede uporabe zdravila.

Če potrebujete več informacij o svojem zdravstvenem stanju ali zdravljenju, preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte s svojim zdravnikom ali farmacevtom. Če želite več informacij, ki temeljijo na priporočilih CHMP, preberite znanstveno razpravo (ki je prav tako del EPAR).

Kaj je zdravilo Cerezyme?

Zdravilo Cerezyme je prašek za pripravo raztopine za infundiranje (kapalne infuzije v veno). Vsebuje zdravilno učinkovino imiglucerazo.

Za kaj se zdravilo Cerezyme uporablja?

Zdravilo Cerezyme se uporablja za dolgotrajno zdravljenje bolnikov z Gaucherjevo boleznijo. Gaucherjeva bolezen je redka dedna napaka, pri kateri bolniku primanjkuje encima glukocerebrozidaze, ki razgrajuje maščobni odpadni produkt, imenovan glukocerebrozid. Ob odsotnosti encima se glukocerebrozid kopiči v telesu, običajno v jetrih, vranici in kostnem mozgu, to pa vodi do nastanka simptomov bolezni: anemije (znižane koncentracije rdečih krvničk), utrujenosti, povečane verjetnosti za nastanek hematomov in nagnjenosti h krvavitvam, povečane vranice in jeter ter bolečin v kosteh in zlomov kosti.

Zdravilo Cerezyme se uporablja pri bolnikih, ki imajo Gaucherjevo bolezen tipa 1, ki ne prizadene živčnih celic, ali Gaucherjevo boleznijo tipa 3, ki prizadene živčne celice v daljšem obdobju. Bolniki morajo imeti simptome, ki ne vplivajo na živčni sistem, vključno z enim ali več naslednjih stanj:

- anemijo;
- trombocitopenijo (znižano število trombocitov v krvi);
- bolezen kosti;
- povečana jetra ali vranico.

Zdravilo se dobi samo na recept.

Kako se zdravilo Cerezyme uporablja?

Bolnike z Gaucherjevo boleznijo mora zdraviti zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem te bolezni. Zdravilo Cerezyme se običajno daje z infuzijo vsaka dva tedna. Odmerek in pogostost dajanja infuzij je treba prilagoditi glede na posameznikove simptome in odziv na zdravljenje. Prvih nekaj infuzij je treba dati počasi, hitrost dajanja vseh nadaljnjih infuzij pa se lahko poveča pod nadzorom zdravnika ali medicinske sestre. Zdravilo Cerezyme je predvideno za dolgotrajno uporabo.

Kako zdravilo Cerezyme deluje?

Gaucherjevo bolezen so v preteklosti zdravili z encimom alglucerazo, pridobljenim iz človeške posteljice. Zdravilna učinkovina v zdravilu Cerezyme, imigluceraza, je kopija tega encima, ki jo proizvajajo z metodo, znano kot „tehnologija rekombinantne DNK“, pri kateri celica prejme gen

(DNK), s katerim lahko tvori ta encim. Imigluceraza nadomesti manjkajoči encim tako, da pomaga razgraditi glukocerebrozid in zaustavi njegovo kopičenje v telesu.

Kako je bilo zdravilo Cerezyme raziskano?

Za uporabo pri Gaucherjevi bolezni tipa 1 so zdravilo Cerezyme proučevali v okviru treh študij, v katerih je sodelovalo skupno 40 bolnikov. To število bolnikov je sprejemljivo, saj gre za zelo redko bolezen. V študijah so primerjali učinkovitost zdravila Cerezyme in algluceraze pri nadzoru simptomov bolezni, kot so povečanje števila rdečih krvničk in trombocitov v krvi ter zmanjšanje velikosti jeter in vranice

Za uporabo zdravila pri Gaucherjevi bolezni tipa 3, ki je izredno redka, je družba predstavila podatke iz objavljenih člankov in posebnega registra bolnikov z Gaucherjevo boleznijo.

Kakšne koristi je zdravilo Cerezyme izkazalo med študijami?

Študije so pokazale, da je zdravilo Cerezyme enako varno in učinkovito pri nadzoru simptomov Gaucherjeve bolezni kot algluceraza. Prav tako je bilo dokazano, da lahko bolniki varno preidejo z zdravljenja z alglucerazo na zdravljenje z zdravilom Cerezyme.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Cerezyme?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Cerezyme (opaženi pri 1 do 10 bolnikov od 100) so respiratorni simptomi (zasoplost), urtikarija (koprivnica) ali angioedem (podkožna oteklina), pruritus (srbenje) in izpuščaji. Bolniki lahko razvijejo protitelesa (beljakovine, ki se tvorijo kot odziv na zdravilo Cerezyme ter lahko vplivajo na zdravljenje), zato je v teku prvega leta zdravljenja treba nadzorovati, ali prihaja do morebitnih alergičnih reakcij na zdravilo Cerezyme.

Posebna previdnost pri uporabi zdravila Cerezyme je potrebna pri ljudeh, ki utegnejo biti preobčutljivi za (alergični na) imiglucerazo ali katero koli drugo sestavino zdravila.

Zakaj je bilo zdravilo Cerezyme odobreno?

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) je zaključil, da zdravilo Cerezyme zagotavlja učinkovit nadzor nad simptomi Gaucherjeve bolezni tipa 1 in 3. Odbor je ugotovil, da so koristi zdravila Cerezyme pri dolgotrajnem encimskem nadomestnem zdravljenju pri bolnikih s potrjeno diagnozo nenevropske (tip 1) ali kronične nevropatske (tip 3) Gaucherjeve bolezni, ki kažejo klinično pomembne nenevrološke simptome bolezni, večje od z njim povezanih tveganj. Odbor je priporočil, da se za zdravilo Cerezyme odobri dovoljenje za promet.

Druge informacije o zdravilu Cerezyme:

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Cerezyme, veljavno po vsej Evropski uniji, odobrila družbi Genzyme Europe B.V. dne 17. novembra 1997. Dovoljenje za promet je bilo podaljšano dne 17. novembra 2002 in 17. novembra 2007.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Cerezyme je na voljo [tukaj](#).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 06-2009.