

EMA/498833/2010
EMA/H/C/000157

EPAR-yhteenveto

Cerezyme

imigluseraasi

Tämä asiakirja on tiivistelmä Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Cerezyme-valmistetta. Tekstissä selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut lääkevalmistetta ja päättänyt myyntiluvan myöntämistä puoltavaan lausuntoon ja suosituksiin Cerezymen käytön ehdoista.

Mitä Cerezyme on?

C on jauhe infuusioliuosta varten (tiputus laskimoon). Sen vaikuttava aine on imigluseraasi.

Mihin Cerezymeä käytetään?

käytetään Gaucherin tautia sairastavien potilaiden pitkäaikaiseen hoitoon. Gaucherin tauti on harvinainen perinnöllinen sairaus. Tätä tautia sairastavilla ihmisillä ei ole riittävästi glukoserebrosidaasi-nimistä entsyymiä. Tämä entsyymi pilkkoo normaalisti glukosyylliseramidi-nimisen rasva-aineenvaihduntatuotteen. Kun entsyymiä ei ole, glukosyylliseramidi kerääntyy elimistöön, tyypillisesti maksaan, pernaan ja luuytimeen, ja tämä aiheuttaa sairauden oireet: anemian (punasolujen alhainen määrä), väsymyksen, mustelmaherkkyuden ja verenvuotoherkkyyden, pernan ja maksan suurenemisen sekä kipua luissa ja luunmurtumia.

Cerezymeä annetaan potilaille, joilla on tyyppin 1 Gaucherin tauti, joka ei vaikuta hermosoluihin, tai tyyppin 3 Gaucherin tauti, joka etenee hitaasti ja vaikuttaa hermosoluihin. Hoidettavilla potilailla pitää olla oireita, jotka eivät vaikuta hermostoon, kuten yksi tai useampi seuraavista:

- anemia
- trombosytopenia (verihiutaleiden määrän vähyys)
- luustosairaus
- maksan tai pernan suurentuminen.

Miten Cerezymeä käytetään?

Gaucherin tautia sairastavia potilaita pitäisi hoitaa lääkärin, jotka ovat perehtyneitä kyseisen taudin hoitoon. Cerezymeä annetaan yleensä infuusiona joka toinen viikko. Annos ja infuusioiden antotiheys sovitetaan kunkin potilaan oireiden ja hoitovasteen mukaan. Ensimmäiset infuusiot annetaan hitaasti, mutta sen jälkeen nopeutta voidaan lisätä lääkärin tai sairaanhoitajan valvonnassa. Saatuaan opastusta potilas itse tai hänen hoitajansa voi antaa infuusion kotona, jos lääkäri katsoo sen asianmukaiseksi.

Miten Cerezyme vaikuttaa?

Gaucherin tautia on aikaisemmin hoidettu algluseraasi-nimisellä entsyymillä, joka valmistettiin ihmisen istukasta. Cerezymen vaikuttava aine imigluseraasi on kopio tästä entsyymistä, ja sitä tuotetaan yhdistelmä-DNA-tekniikalla. Entsyymiä tuottaa solu, johon lisätty geeni (DNA) saa sen tuottamaan kyseistä entsyymiä. Imigluseraasi korvaa puuttuvan entsyymin Gaucherin tautia sairastavilla; se auttaa glukosyyliceramidin hajottamisessa ja estää sen kerääntymisen elimistöön.

Miten Cerezymeä on tutkittu?

Tyyppin 1 Gaucherin taudissa Cerezymeä on tutkittu kolmessa tutkimuksessa yhteensä 40 potilaalla. Tämä on hyväksyttävä määrä, koska sairaus on harvinainen. Tutkimuksissa verrattiin Cerezymen ja algluseraasin tehoa taudin oireiden hallinnassa, kuten veren punasolujen määrän ja verihiutalemäärän lisäämisessä ja maksan ja pernan koon pienentämisessä.

Erittäin harvinaisen tyyppin 3 Gaucherin taudin osalta käytettiin tietoja julkaistuista artikkeleista ja erityisestä Gaucherin taudin potilasrekisteristä.

Mitä hyötyä Cerezymestä on havaittu tutkimuksissa?

Tutkimukset ovat osoittaneet, että Cerezyme on Gaucherin taudin oireiden hallinnassa yhtä turvallinen ja tehokas kuin algluseraasi. On myös osoitettu, että potilaat voivat turvallisesti vaihtaa algluseraasihoidon Cerezyme-hoitoon.

Mitä riskejä Cerezymeen liittyy?

Cerezymen yleisemmät haittavaikutukset (havaittu 1 – 10 potilaalla 100:sta) ovat dyspnea (hengenahdistus), yskä, urtikaria (nokkosihottuma), angioedeema (ihonalainen turvotus), kutina, ihottuma ja allergiset reaktiot. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Cerezymen ilmoitetuista sivuvaikutuksista. Potilaille voi kehittyä vasta-aineita (proteiineja, joita muodostuu reaktiona Cerezymeen ja jotka saattavat vaikuttaa hoitoon), ja heitä on seurattava mahdollisten Cerezymen aiheuttamien allergisten reaktioiden varalta.

Cerezymeä ei pidä antaa henkilöille, jotka voivat olla yliherkkiä (allergisia) imigluseraasille tai lääkevalmisteen joillekin muille aineille.

Miksi Cerezyme on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea katsoi, että Cerezymen avulla voidaan hallita tehokkaasti niitä Gaucherin taudin tyyppin 1 ja 3 oireita, jotka eivät liity hermostoon. Komitea katsoi, että Cerezymen hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille.

Muita tietoja Cerezymestä

Euroopan komissio myönsi Genzyme Europe B.V. -yhtiölle koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Cerezymeä varten 17.11.1997. Myyntilupa on voimassa rajoittamattoman ajan.

Cerezymeä koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan [tässä](#). Lisätietoja Cerezyme-hoidosta saat pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon) tai lääkäriltä tai apteekista.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 08-2010.