



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Résumé EPAR à l'intention du public

Cerezyme

imiglucérase

Ce document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Cerezyme. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle le comité des médicaments à usage humain (CHMP) a procédé l'a conduit à rendre un avis favorable à l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché et à établir ses recommandations relatives aux conditions d'utilisation de Cerezyme.

Qu'est-ce que Cerezyme?

Cerezyme se présente sous la forme d'une poudre à reconstituer en solution pour perfusion (goutte à goutte dans une veine). Son principe actif est l'imiglucérase.

Dans quel cas Cerezyme est-il utilisé?

Cerezyme est utilisé comme traitement à long terme chez les patients souffrant de la maladie de Gaucher. La maladie de Gaucher est un trouble héréditaire rare. Les personnes atteintes de cette maladie présentent un déficit en bêta-glucosidase acide, une enzyme qui dégrade normalement un déchet lipidique appelé la glucosylcéramide. Sans cette enzyme, la glucosylcéramide s'accumule dans l'organisme, généralement dans le foie, la rate et la moelle osseuse, ce qui provoque les symptômes de la maladie: anémie (faible nombre de globules rouges), fatigue, tendance à saigner et à développer facilement des hématomes, augmentation du volume de la rate et du foie, douleurs osseuses et fractures.

Cerezyme est utilisé chez les patients souffrant d'une maladie de Gaucher de type 1, qui n'affecte pas les cellules nerveuses, ou de type 3, qui progresse lentement et affecte les cellules nerveuses. Les patients doivent présenter des symptômes qui n'affectent pas les cellules nerveuses, y compris l'un ou plusieurs des troubles suivants dus à la maladie:

- anémie;
- thrombocytopénie (faible nombre de plaquettes dans le sang);



- maladie osseuse;
- augmentation du volume du foie (hépatomégalie) ou de la rate (splénomégalie).

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance.

Comment Cerezyme est-il utilisé?

Les patients souffrant de la maladie de Gaucher doivent être traités par des médecins expérimentés dans la prise en charge des patients souffrant de cette maladie. Cerezyme est administré par perfusion toutes les deux semaines. La dose et la fréquence d'administration des perfusions sont ensuite ajustées en fonction des symptômes du patient et selon la manière dont celui-ci répond au traitement. Les premières perfusions devraient être administrées lentement, puis la vitesse de perfusion pourra être augmentée sous la surveillance d'un médecin ou d'une infirmière. Après avoir été formés, le patient ou le soignant peuvent procéder à la perfusion, sous réserve de l'approbation du médecin.

Comment Cerezyme agit-il ?

La maladie de Gaucher était auparavant traitée par une enzyme, l'αglucérase, préparée à partir de placenta humain. L'imiglucérase, principe actif de Cerezyme, est une copie de cette enzyme, obtenue par une méthode connue sous le nom de «technologie de l'ADN recombinant»: l'enzyme est fabriquée par une cellule ayant reçu un gène (ADN) la rendant capable de produire cette enzyme. L'imiglucérase remplace l'enzyme manquante dans la maladie de Gaucher, facilite la dégradation de la glucosylcéramide et empêche son accumulation dans le corps.

Quelles études ont été menées sur Cerezyme?

Pour la maladie de Gaucher de type 1, Cerezyme a fait l'objet de trois études ayant suivi 40 patients au total, ce qui constitue un nombre acceptable étant donné que la maladie est rare. Ces études ont évalué l'efficacité de Cerezyme et de l'αglucérase dans la maîtrise des symptômes de la maladie, tels que l'augmentation du nombre de globules rouges et de plaquettes dans le sang, ainsi que la diminution de la taille du foie et de la rate.

Pour la maladie de Gaucher de type 3, qui est une forme extrêmement rare de la maladie, la société a présenté des données provenant d'articles publiés et d'un registre spécial regroupant les personnes atteintes de cette maladie.

Quel est le bénéfice démontré par Cerezyme au cours des études?

Les études ont démontré que Cerezyme est aussi sûr et efficace que l'αglucérase en ce qui concerne la maîtrise des symptômes de la maladie de Gaucher. Il a également été démontré que les patients peuvent passer en toute sécurité d'un traitement par αglucérase à un traitement par Cerezyme.

Quel est le risque associé à Cerezyme?

Les effets indésirables les plus courants avec Cerezyme (observés chez 1 à 10 patients sur 100) sont les suivants: dyspnée (difficulté à respirer), toux, urticaire ou œdème (gonflement sous la peau), prurit (démangeaison), éruption cutanée et réactions d'hypersensibilité (réactions allergiques). Pour une description complète des effets indésirables observés sous Cerezyme, voir la notice. Les patients peuvent développer des anticorps (protéines produites en réponse à Cerezyme et pouvant affecter le traitement) et doivent être surveillés afin de détecter toute réaction allergique à Cerezyme.

Cerezyme ne doit pas être utilisé chez des patients pouvant présenter une hypersensibilité (allergie) à l'imiglucérase ou à l'un des autres composants.

Pourquoi Cerezyme a-t-il été approuvé ?

Le CHMP a estimé que Cerezyme permet de contrôler efficacement les symptômes non neurologiques de la maladie de Gaucher de types 1 et 3. Le comité a estimé que les bénéfices de Cerezyme sont supérieurs à ses risques et a recommandé l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour ce médicament.

Autres informations relatives à Cerezyme:

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Cerezyme à Genzyme Europe B.V, le 17 novembre 1997. L'autorisation de mise sur le marché est valide pour une période illimitée.

L'EPAR complet relatif à Cerezyme est disponible [ici](#). Pour plus d'informations sur le traitement par Cerezyme, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Dernière mise à jour du présent résumé: 08-2010.