

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Cerezyme

imiglucéráz

Ez a dokumentum a Cerezyme-re vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és a Cerezyme alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer a Cerezyme?

A Cerezyme oldatos infúzió készítésére alkalmas por. A gyógyszer egy imiglucéráz nevű hatóanyagot tartalmaz.

Milyen betegségek esetén alkalmazható a Cerezyme?

A Cerezyme-et Gaucher-kórban szenvedő betegek hosszú távú kezelésére alkalmazzák. A Gaucher-kór egy ritka örökletes betegség. Az ebben a betegségben szenvedő betegek szervezetében nincs elegendő mennyiségű acid béta-glükózidáz nevű enzim, amely normál körülmények között a glükoszilceramidnak nevezett, zsíros hulladékterméket bontja le. Az enzim hiányában a glükoszilceramid felhalmozódik a szervezetben, jellemzően a májban, a lépben és a csontvelőben, ami a betegség tüneteinek kialakulásához vezet: anémia (a vörösvérsejtek alacsony száma) fáradtság, könnyebb bevérzések és vérzési hajlam, a lép és a máj megnagyobbodása, csontfájdalmak és -törések.

A Cerezyme-et az 1-es típusú, idegsejtekre nem ható, vagy a 3-as típusú, lassan súlyosbodó és az idegsejtekre ható Gaucher-kórban szenvedő betegeknél alkalmazzák. Olyan betegeknél alkalmazható, akiknél a betegség tünetei nem érintik az idegrendszert, ideértve, ha a következő betegségek közül egy vagy több fennáll:

- anémia
- trombocitopénia (alacsony vérlemezkeszám)
- csontbetegség

- megnagyobbodott máj vagy lép

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni a Cerezyme-et?

A Gaucher-kórban szenvedő betegek kezelését a betegség kezelésében gyakorlott orvosnak kell végeznie. A Cerezyme-et általában kéthetente, infúzió formájában alkalmazzák. Az infúziók dózisát és gyakoriságát az egyéni gyógyszerválasznak és tüneteknek megfelelően kell beállítani. Az első néhány infúziót lassan kell beadni, ezt követően az infúziók sebességét növelni lehet orvos vagy ápoló felügyelete alatt. Betanítást követően a beteg otthonában a beteg vagy a gondozó is beadhatja az infúziót, amennyiben az orvos azt helyesnek ítéli.

Hogyan fejti ki hatását a Cerezyme?

A Gaucher-kór kezelésére korábban az emberi placentából előállított algluceráz nevű enzimet alkalmazták. A Cerezyme hatóanyaga, az imigluceráz, ennek az enzimnek a másolata, amelyet a „rekombináns DNS- technológia” néven ismert módszerrel állítanak elő: az enzimet egy olyan sejt termeli, amelybe olyan gént (DNS-t) juttattak, amelynek hatására képes az enzim előállítására. Az imigluceráz helyettesíti a Gaucher-kór esetében hiányzó enzimet, így segíti a glükoszilceramid lebomlását és megállítja annak a szervezetben történő felhalmozódását.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Cerezyme-et?

Az 1-es típusú Gaucher-kór esetében a Cerezyme-et három vizsgálatban, összesen 40 betegen tanulmányozták. Ez egy elfogadható betegszám, mivel ritka betegségről van szó. A vizsgálatokban a Cerezyme és az algluceráz azon képességét hasonlították össze, hogy milyen mértékben képesek a betegség tüneteinek kontrollálására, így például a vörösvérsejtek és a vérlemezkék számának növelésére, valamint a máj és a lép méretének csökkentésére.

A rendkívül ritka 3-as típusú Gaucher-kór esetében a vállalat a megjelent cikkekből és a Gaucher-kórban szenvedő betegek speciális nyilvántartásából származó adatokat nyújtott be.

Milyen előnyei voltak a Cerezyme alkalmazásának a vizsgálatok során?

A vizsgálatok kimutatták, hogy a Cerezyme ugyanolyan biztonságos és hatékony a Gaucher-kór tüneteinek kontrollálásában, mint az algluceráz. Az is beigazolódott, hogy a betegek biztonságosan állíthatók át az alglucerázról a Cerezyme-kezelésre.

Milyen kockázatokkal jár a Cerezyme alkalmazása?

A Cerezyme leggyakoribb mellékhatásai (100 beteg közül 1-10-nél jelentkezik) a légzési nehézségek, köhögés, csalánkiütések vagy angioödéma (duzzanat a bőr alatt), viszketés, kiütés és a túlérzékenységi (allergiás) reakciók. A Cerezyme alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolását lásd a betegtájékoztatóban! A betegek szervezetében antitestek (olyan fehérjék, amelyek a Cerezyme-re adott válaszként termelődnek és befolyásolhatják a kezelést) képződhetnek, ezért a betegeket a Cerezyme által kiváltott allergiás reakciók miatt megfigyelés alatt kell tartani.

A Cerezyme nem alkalmazható olyan személyeknél, akik túlérzékenyek (allergiásak) lehetnek az imiglucerázzal vagy a készítmény bármely más összetevőjével szemben.

Miért engedélyezték a Cerezyme forgalomba hozatalát?

A CHMP arra a következtetésre jutott, hogy a Cerezyme hatékonyan kontrollálja az 1-es és a 3-as típusú Gaucher-kór nem neurológiai tüneteit. A bizottság megállapította, hogy a Cerezyme alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

A Cerezyme-mel kapcsolatos egyéb információ:

1997. november 17-én az Európai Bizottság a Genzyme Europe B.V. részére a Cerezyme-re vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt. A forgalomba hozatali engedély korlátlan ideig érvényes.

A Cerezyme-re vonatkozó teljes EPAR [itt](#) található. Amennyiben a Cerezyme-mel történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon orvosához vagy gyógyszerészéhez!

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 08-2010.