

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

## Sintesi destinata al pubblico

---

# Cerezyme

## imiglucerasi

Questo documento è la sintesi di una relazione di valutazione pubblica europea (EPAR) per Cerezyme. L'EPAR illustra il modo in cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha valutato il medicinale ed è giunto a formulare un parere favorevole alla concessione dell'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di Cerezyme.

### Che cos'è Cerezyme?

Cerezyme è una polvere con cui si prepara una soluzione per infusione (somministrazione goccia a goccia in vena). Contiene il principio attivo imiglucerasi.

### Per che cosa si usa Cerezyme?

Cerezyme si usa per il trattamento a lungo termine di pazienti affetti da malattia di Gaucher. La malattia di Gaucher è una malattia rara ereditaria caratterizzata da deficit di un enzima chiamato beta-glucosidasi acida, che normalmente decompone un prodotto lipidico di scarto chiamato glucosilceramide. Senza questo enzima, il glucosilceramide si accumula nell'organismo, in genere nel fegato, nella milza e nel midollo osseo, scatenando i sintomi della malattia: anemia (bassi livelli di globuli rossi), stanchezza, tendenza alle ecchimosi e alle emorragie, ingrossamento della milza e del fegato, dolore alle ossa e fratture.

Cerezyme è indicato in pazienti con malattia di Gaucher di tipo 1, che non colpisce le cellule nervose, o di tipo 3, che progredisce lentamente e colpisce le cellule nervose. I pazienti devono presentare sintomi che non interessano il sistema nervoso, tra cui una o più delle seguenti condizioni:

- anemia;
- trombocitopenia (bassa conta di piastrine nel sangue);
- problemi alle ossa;

- ingrossamento del fegato o della milza.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

## **Come si usa Cerezyme?**

I pazienti affetti dalla malattia di Gaucher devono essere curati da medici esperti nel trattamento di questa malattia. Cerezyme normalmente viene somministrato mediante infusione ogni due settimane. La dose e la frequenza delle infusioni devono essere adeguate a ciascun paziente in base ai sintomi e alla risposta al trattamento. Le prime infusioni devono essere somministrate lentamente e in seguito la velocità dell'infusione può essere aumentata sotto il controllo di un medico o di un infermiere. Dopo aver ricevuto adeguate istruzioni, il paziente o chi si occupa dell'assistenza possono praticare l'infusione a casa, se il medico lo ritiene opportuno.

## **Come agisce Cerezyme?**

In passato la malattia di Gaucher veniva curata con l'uso di un enzima chiamato alglucerasi, che era preparato a partire da placenta umana. L'imiglucerasi, il principio attivo di Cerezyme, è una copia di questo enzima, che è prodotta con un metodo noto come "tecnologia del DNA ricombinante": l'enzima viene ottenuto da una cellula in cui è stato inserito un gene (DNA) che la rende capace di produrre l'enzima. L'imiglucerasi sostituisce l'enzima che manca nella malattia di Gaucher e favorisce la decomposizione del glucosilceramide, evitandone l'accumulo nell'organismo.

## **Quali studi sono stati effettuati su Cerezyme?**

Per la malattia di Gaucher di tipo 1, Cerezyme è stato esaminato in tre studi svolti su un totale di 40 pazienti, numero accettabile se si considera che la malattia è rara. Questi studi hanno confrontato la capacità di Cerezyme e quella dell'alglucerasi di controllare i sintomi della malattia di Gaucher, valutando cioè l'aumento del numero di globuli rossi e di piastrine nel sangue e la diminuzione del volume di fegato e milza.

Per la malattia di Gaucher di tipo 3, che è estremamente rara, la ditta ha presentato dati provenienti da articoli pubblicati e da un registro speciale di pazienti con malattia di Gaucher.

## **Quali benefici ha mostrato Cerezyme nel corso degli studi?**

Gli studi condotti hanno mostrato che Cerezyme è sicuro ed efficace tanto quanto l'alglucerasi nel controllo dei sintomi della malattia di Gaucher. È stato inoltre dimostrato che i pazienti possono passare in tutta sicurezza dal trattamento con alglucerasi a quello con Cerezyme.

## **Qual è il rischio associato a Cerezyme?**

Gli effetti indesiderati più comuni di Cerezyme (rilevati in 1-10 pazienti su 100) sono dispnea (difficoltà di respirazione), tosse, orticaria (eruzione cutanea) o angioedema (gonfiore sottocutaneo), prurito, rash cutaneo e reazioni di ipersensibilità (reazioni allergiche). Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Cerezyme, si rimanda al foglio illustrativo. I pazienti possono sviluppare anticorpi (proteine prodotte come reazione a Cerezyme che possono compromettere il trattamento) e devono essere monitorati per individuare eventuali segni di reazioni allergiche a Cerezyme.

Cerezyme non deve essere usato in persone che potrebbero essere ipersensibili (allergiche) a imiglucerasi o a una qualsiasi delle altre sostanze.

## **Perché è stato approvato Cerezyme?**

Il CHMP ha deciso che Cerezyme consente di controllare in maniera efficace i sintomi non neurologici della malattia di Gaucher di tipo 1 e di tipo 3. Il comitato ha deciso che i benefici di Cerezyme sono superiori ai suoi rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

## **Altre informazioni su Cerezyme**

Il 17 novembre 1997 la Commissione europea ha rilasciato alla Genzyme Europe B.V. un'autorizzazione all'immissione in commercio per Cerezyme, valida in tutta l'Unione europea. L'autorizzazione all'immissione in commercio è valida per un periodo illimitato.

Per la versione completa dell'EPAR di Cerezyme cliccare [qui](#). Per maggiori informazioni sulla terapia con Cerezyme, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) o contattare il proprio medico o farmacista.

Ultimo aggiornamento di questa sintesi: 08-2010.