

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Cerezyme

imiglicerāze

Šis dokuments ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Cerezyme*. Tajā ir paskaidrots, kā Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) novērtēja šīs zāles, pirms sniegt pozitīvu reģistrācijas apliecības piešķiršanas atzinumu un ieteikumus par *Cerezyme* lietošanu.

Kas ir Cerezyme?

Cerezyme ir pulveris, no kura gatavo infūziju (ievadīšanai vēnā pa pilienam) šķīdumu. Tas satur aktīvo vielu imiglicerāzi.

Kāpēc lieto Cerezyme?

Cerezyme lieto Gošē slimības pacientu ilgstošai ārstēšanai. Gošē slimība ir reta, iedzimta slimība, kad cilvēkiem trūkst fermenta, ko dēvē par skābo beta-glikozidāzi, kas parasti noārda taukveida atlikumvielu glikozilkeramīdu. Ja nav šā fermenta, glikozilkeramīds uzkrājas organismā, galvenokārt aknās, liesā un kaulu smadzenēs, un tas izraisa šīs slimības simptomus: anēmiju (samazinātu sarkano asinsķermenīšu skaitu), nogurumu, biežus asinsizplūdumus un tieksmi uz asiņošanu, palielinātu liesu un aknas, kaulu sāpes un lūzumus.

Cerezyme lieto pacientiem ar 1. tipa Gošē slimību, kas neietekmē nervu šūnas, vai 3. tipa Gošē slimību, kas attīstās lēni un ietekmē nervu šūnas. Pacientiem jābūt simptomiem, kas neietekmē nervu sistēmu, tostarp vienai vai vairākām no šīm slimībām:

- anēmija;
- trombocitopēnija (zems asinsķermenīšu skaits);
- kaulu slimības;
- palielinātas aknas vai liesa.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Kā lieto *Cerezyme*?

Gošē slimības pacientus ārstē ārsti ar pieredzi šīs slimības terapijā. Parasti *Cerezyme* ievada infūzijas veidā ik pēc divām nedēļām. Deva un infūziju biežums jāpielāgo, ņemot vērā katra pacienta simptomus un reakciju uz ārstēšanu. Pirmās infūzijas jāizdara lēni, bet vēlāk infūzijas ātrumu var palielināt ārsta vai medmāsas uzraudzībā. Pēc apmācības pacients vai kopējs var veikt infūziju mājas apstākļos, ja ārsts to uzskata par pieņemamu.

Kā *Cerezyme* darbojas?

Agrāk Gošē slimību ārstēja ar fermentu aliglicerāzi, ko ieguva no cilvēka placentas. Imiglicerāze - *Cerezyme* aktīvā sastāvdaļa – ir šī fermenta kopija, ko iegūst, izmantojot tā dēvēto „rekombinantās DNS tehnoloģiju”: šo fermentu sintezē šūnās, kurās ir ievadīts gēns (DNS), kas ļauj tām ražot šo fermentu. Imiglicerāze aizstāj trūkstošo fermentu Gošē slimības pacientiem, palīdzot noārdīt glikozilkeramīdu un novēršot tā uzkrāšanos organismā.

Kā noritēja *Cerezyme* izpēte?

Cerezyme novērtēja trijos pētījumos Gošē slimības 1. tipa ārstēšanā, iekļaujot kopumā 40 pacientus. Tas ir pieņemams skaits, jo šī slimība ir reta. Pētījumos salīdzināja *Cerezyme* un aliglicerāzes spēju kontrolēt slimības simptomus, piemēram, palielinot sarkano asinsķermenīšu un trombocītu skaitu asinīs, kā arī samazinot aknu un liesas izmērus.

Attiecībā uz Gošē slimības 3. tipu, kas sastopams ārkārtīgi reti, uzņēmums iesniedza datus no zinātniskām publikācijām un īpašā Gošē pacientu reģistra datus.

Kāds ir *Cerezyme* iedarbīgums šajos pētījumos?

Pētījumos konstatēts, ka *Cerezyme* ir tikpat nekaitīgas un efektīvas kā aliglicerāze Gošē slimības simptomu kontrolē. Turklāt pierādīts, ka pacienti var droši pārslēgties no ārstēšanas ar aliglicerāzi uz *Cerezyme* terapiju.

Kāds pastāv risks, lietojot *Cerezyme*?

Visbiežāk sastopamās *Cerezyme* blakusparādības (vienam līdz desmit pacientiem no simts) ir dispoja (apgrūtināta elpošana), klepus, nātrene (izsitumi) vai angiodēma (zemādas pietūkums), prurīts (nieze), izsitumi un paaugstinātas jutības (alerģiskas) reakcijas. Pilns visu *Cerezyme* izraisīto blakusparādību apraksts ir atrodams zāļu lietošanas pamācībā. Pacientiem var izveidoties antivielas (olbaltumvielas, kas veidojas, reaģējot uz *Cerezyme*, un var ietekmēt ārstēšanu), tāpēc tiem nepieciešama uzraudzība, lai pamanītu jebkādu alerģisku reakciju saistībā ar *Cerezyme*.

Cerezyme nedrīkst lietot cilvēki ar paaugstinātu jutību (alerģiju) pret imiglicerāzi vai kādu citu šo zāļu sastāvdaļu.

Kāpēc *Cerezyme* tika apstiprinātas?

CHMP secināja, ka *Cerezyme* ļauj efektīvi kontrolēt 1. un 3. tipa Gošē slimības ne-neiroloģiskos simptomus. Komiteja nolēma, ka pacienta ieguvumi, lietojot *Cerezyme*, ir lielāki par šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību.

Cita informācija par Cerezyme.

Eiropas Komisija 1987. gada 17. novembrī izsniedza *Cerezyme* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā, uzņēmumam *Genzyme Europe B.V.* Reģistrācijas apliecības derīguma termiņš nav ierobežots.

Pilns *Cerezyme* EPAR teksts ir atrodams [šeit](#). Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Cerezyme* pieejama zāļu lietošanas pamācībā (kas arī ir daļa no EPAR) vai iegūstama, sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 08./2010.