

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Cerezyme

imiglucerase

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Cerezyme. Het geeft uitleg over de aanpak van het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) bij de beoordeling van het geneesmiddel, een proces dat tot doel heeft een positief advies voor vergunningverlening en aanbevelingen voor de gebruiksvoorwaarden van Cerezyme vast te stellen.

Wat is Cerezyme?

Cerezyme is een poeder waarmee een oplossing voor infusie (indruppeling in een ader) wordt gemaakt. Het bevat de werkzame stof imiglucerase.

Wanneer wordt Cerezyme voorgeschreven?

Cerezyme wordt gebruikt voor langdurige behandeling van patiënten met de ziekte van Gaucher. De ziekte van Gaucher is een zeldzame erfelijke aandoening. Mensen die aan deze ziekte lijden hebben een tekort aan het enzym zure β -glucosidase. Dit enzym zorgt normaal voor de afbraak van een vette afvalstof, glucosylceramide. Zonder dat enzym stapelt glucosylceramide zich in het lichaam op, met name in de lever, de milt en het beenmerg, en dit veroorzaakt de symptomen van de ziekte: anemie (laag aantal rode bloedcellen), moeheid, vatbaarheid voor kneuzingen en bloedingen, een vergrote milt en lever, botpijn en breuken.

Cerezyme wordt voorgeschreven aan patiënten met de ziekte van Gaucher van het type 1, dat de zenuwcellen niet aantast, of van het type 3, dat zich langzaam ontwikkelt en de zenuwcellen wel aantast. De patiënten moeten symptomen hebben die niet het zenuwstelsel betreffen, waaronder ten minste één van de volgende verschijnselen:

- anemie;
- trombocytopenie (laag aantal bloedplaatjes);

- botziekte;
- een vergrote lever of milt.

Het middel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.

Hoe wordt Cerezyme gebruikt?

Patiënten met de ziekte van Gaucher moeten worden behandeld door artsen met kennis en ervaring op het gebied van de behandeling van deze ziekte. Cerezyme wordt doorgaans eenmaal in de twee weken door middel van infusie toegediend. De dosering en frequentie moeten worden aangepast afhankelijk van de symptomen van de patiënt en diens reactie op de behandeling. De eerste infusies moeten langzaam worden gegeven, maar daarna kan de snelheid onder toezicht van een arts of verpleegkundige worden verhoogd. Met de nodige opleiding kan de patiënt of zorgverstrekker de infusie thuis toedienen indien de arts dit aangewezen acht.

Hoe werkt Cerezyme?

De ziekte van Gaucher werd in het verleden behandeld met behulp van een enzym, alglucerase, dat bereid werd uit menselijk placentaweefsel. Imiglucerase, de werkzame stof in Cerezyme, is een kopie van dit enzym, die wordt vervaardigd met behulp van een methode die bekendstaat als 'recombinant-DNA-techniek' en wel door een cel waarin een gen (DNA) is ingebracht, zodat het enzym kan worden aangemaakt. Imiglucerase vervangt het ontbrekende enzym bij patiënten met de ziekte van Gaucher en helpt op die manier glucosylceramide af te breken en de ophoping ervan in het lichaam te stoppen.

Hoe is Cerezyme onderzocht?

Voor de ziekte van Gaucher type 1 werd Cerezyme onderzocht in drie studies bij in totaal 40 patiënten. Dit is een aanvaardbaar aantal omdat de aandoening zeldzaam is. De studies onderzochten de werkzaamheid van Cerezyme en alglucerase voor de beheersing van de symptomen van de ziekte van Gaucher, zoals het verhogen van het aantal rode bloedcellen en bloedplaatjes en het verkleinen van de lever en de milt.

Voor de ziekte van Gaucher type 3, een uiterst zeldzame vorm van de aandoening, legde de firma gegevens over uit gepubliceerde artikelen en uit een speciaal register van patiënten met de ziekte van Gaucher.

Welke voordelen bleek Cerezyme tijdens de studies te hebben?

De studies hebben uitgewezen dat Cerezyme even veilig en effectief is als alglucerase voor het beheersen van de symptomen van de ziekte van Gaucher. Er werd ook aangetoond dat de patiënten veilig kunnen overschakelen van alglucerase op een behandeling met Cerezyme.

Welke risico's houdt het gebruik van Cerezyme in?

De meest voorkomende bijwerkingen met Cerezyme (waargenomen bij 1 tot 10 op de 100 patiënten) zijn ademhalingsproblemen, hoesten, netelroos of angio-oedeem (onderhuidse zwellingen), jeuk, huiduitslag en overgevoelighedsreacties (allergische reacties). Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van Cerezyme. De patiënten kunnen antistoffen ontwikkelen (eiwitten die worden aangemaakt als reactie op Cerezyme en die de behandeling kunnen beïnvloeden) en moeten worden gecontroleerd op allergische reacties op Cerezyme.

Cerezyme mag niet worden toegediend aan mensen die mogelijk overgevoelig (allergisch) zijn voor imiglucerase of voor enig ander bestanddeel van het middel.

Waarom is Cerezyme goedgekeurd?

Het CHMP besloot dat Cerezyme de niet-neurologische symptomen van de ziekte van Gaucher type 1 en 3 effectief beheerst. Het Comité heeft geconcludeerd dat de voordelen van Cerezyme groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd een vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van het middel.

Overige inlichtingen over Cerezyme:

De Europese Commissie heeft op 17 november 1997 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Cerezyme verleend aan Genzyme Europe B.V. De handelsvergunning is geldig voor onbepaalde duur.

Klik [hier](#) voor het volledige EPAR voor Cerezyme. Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker, als u meer informatie nodig hebt over de behandeling met Cerezyme.

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 08-2010.