



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Cerezyme

imigluceraza

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego preparatu Cerezyme. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Lekniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił lek w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie preparatu Cerezyme do obrotu, oraz zaleceń w sprawie warunków stosowania preparatu.

Co to jest Cerezyme?

Cerezyme to proszek, z którego sporządza się roztwór do wlewu dożylnego. Preparat zawiera substancję czynną imiglucerazę.

W jakim celu stosuje się preparat Cerezyme?

Preparat Cerezyme stosuje się w długotrwałym leczeniu pacjentów z chorobą Gauchera. Choroba Gauchera to rzadkie zaburzenie dziedziczne, w którym chorzy wykazują niedobór enzymu zwanego kwaśną beta-glukozydazą, który w normalnych warunkach rozkłada końcowy tłuszczowy produkt przemiany materii zwany glukozyloceramidem. Przy braku enzymu, glukozyloceramid odkłada się w organizmie, zazwyczaj w wątrobie, śledzionie i szpiku kostnym, co powoduje wystąpienie objawów chorobowych: anemii (niska liczba krwinek czerwonych), zmęczenia, łatwego siniaczenia oraz skłonności do krwawień, powiększenia śledziony i wątroby oraz bólu i złamań kości.

Preparat Cerezyme stosuje się u pacjentów z chorobą Gauchera typu 1, niewpływającą na komórki nerwowe, lub typu 3, rozwijającą się powoli i wpływającą na komórki nerwowe. U pacjentów muszą występować objawy niemające wpływu na układ nerwowy, w tym jedna lub więcej z następujących chorób:

- anemia,
- trombocytopenia (niska liczba płytek krwi),
- choroba kości,



- powiększona wątroba lub śledziona.

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.

Jak stosować preparat Cerezyme?

Pacjenci z chorobą Gauchera powinni być prowadzeni przez lekarzy, którzy mają doświadczenie w leczeniu tej choroby. Preparat Cerezyme zazwyczaj podaje się we wlewie co dwa tygodnie. Dawkę oraz częstotliwość wlewu należy dostosować indywidualnie do objawów pacjenta i odpowiedzi na leczenie. Pierwszych kilka wlewów należy podawać wolno, a następnie pod kontrolą lekarza lub pielęgniarki można zwiększyć szybkość wlewu. Po przeszkoleniu, o ile lekarz uzna to za właściwe, pacjent lub opiekun mogą podawać wlew w domu.

Jak działa preparat Cerezyme?

Chorobę Gauchera leczono wcześniej z zastosowaniem enzymu zwanego alglucerazą, który uzyskiwano z ludzkiego łożyska. Imigluceraza, substancja czynna preparatu Cerezyme, jest kopią tego enzymu, otrzymywaną metodą znaną jako technika rekombinacji DNA: enzym jest wytwarzany przez komórkę, do której wprowadzono gen (DNA) umożliwiający jej wytwarzanie enzymu. Imigluceraza zastępuje enzym brakujący w chorobie Gauchera, pomagając w rozkładzie glukozyloceramidu i uniemożliwiając mu odkładanie się w organizmie.

Jak badano preparat Cerezyme?

W przypadku choroby Gauchera typu 1, preparat Cerezyme badano w trzech badaniach z udziałem łącznie 40 pacjentów. Liczba ta jest wystarczająca z uwagi na rzadkie występowanie choroby. W badaniach porównywano skuteczność preparatu Cerezyme i alglucerazy w kontrolowaniu objawów choroby, czyli zwiększanie liczby czerwonych krwinek i płytek we krwi oraz zmniejszanie rozmiaru wątroby i śledziony.

W przypadku choroby Gauchera typu 3, wyjątkowo rzadko występującej, firma przedstawiła dane pochodzące z literatury naukowej oraz specjalnego rejestru pacjentów z chorobą Gauchera.

Jakie korzyści ze stosowania preparatu Cerezyme zaobserwowano w badaniach?

W badaniach wykazano, że preparat Cerezyme jest równie bezpieczny i skuteczny w kontrolowaniu objawów choroby Gauchera jak algluceraza. W badaniach wykazano również, że pacjenci mogą bezpiecznie zmienić leczenie alglucerażą na leczenie preparatem Cerezyme.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem preparatu Cerezyme?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem preparatu Cerezyme (obserwowane u 1 do 10 pacjentów na 100) to: bezdech (problemy z oddychaniem), kaszel, pokrzywka lub obrzęk naczyńioruchowy (obrzemienie podskórne), świąd, wysypka reakcje nadwrażliwości (alergii). Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem preparatu Cerezyme znajduje się w ulotce dla pacjenta. U pacjentów mogą rozwinąć się przeciwciała (białka wytwarzane w reakcji na preparat Cerezyme, które mogą wpłynąć na leczenie), pacjentów należy więc monitorować pod kątem wszelkich reakcji alergicznych na preparat Cerezyme.

Preparatu Cerezyme nie należy podawać osobom, u których może występować nadwrażliwość (alergia) na imiglucerazę lub którykolwiek składnik leku.

Na jakiej podstawie zatwierdzono preparat Cerezyme?

CHMP uznał, że preparat Cerezyme pozwala na skuteczną kontrolę nieneurologicznych objawów choroby Gauchera typu 1 i 3. Komitet uznał, że korzyści płynące ze stosowania preparatu Cerezyme przewyższają ryzyko, i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie preparatu do obrotu.

Inne informacje dotyczące preparatu Cerezyme:

W dniu 17 listopada 1997 r. Komisja Europejska przyznała firmie Genzyme Europe B.V. pozwolenie na dopuszczenie preparatu Cerezyme do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej. Pozwolenie na dopuszczenie do obrotu przyznano na czas nieokreślony.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące preparatu Cerezyme znajduje się [tutaj](#). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia preparatem Cerezyme należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także częścią EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Data ostatniej aktualizacji: 08-2010.