



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Cerezyme

imiglucerază

Prezentul document este un rezumat al Raportului european public de evaluare (EPAR) pentru Cerezyme. Documentul explică modul în care Comitetul pentru produse medicamentose de uz uman (CHMP) a evaluat medicamentul, pentru a emite avizul în favoarea acordării autorizației de introducere pe piață și recomandările privind condițiile de utilizare pentru Cerezyme.

Ce este Cerezyme?

Cerezyme este o pulbere din care se obține o soluție perfuzabilă (picurare în venă). Conține substanța activă imiglucerază.

Pentru ce se utilizează Cerezyme?

Cerezyme se utilizează în tratamentul de lungă durată al bolii Gaucher. Boala Gaucher este o afecțiune ereditară rară, caracterizată printr-un deficit al unei enzime numite beta-glucozidază acidă, care descompune, în mod normal, un produs rezidual adipos denumit glucozilceramidă. Fără această enzimă, glucozilceramida se acumulează în organism, de obicei la nivelul ficatului, splinei și măduvei osoase, producând simptomele bolii: anemie (număr redus de globule roșii în sânge), oboseală, învinețirea ușoară și o tendință de sângerare, splină și ficat mărite, durere la nivelul oaselor și fracturi.

Cerezyme se administrează pacienților care prezintă boala Gaucher de tip 1, care nu afectează celulele nervoase, sau de tip 3, care evoluează lent și afectează celulele nervoase. Pacienții trebuie să prezinte simptome care nu afectează sistemul nervos, inclusiv una sau mai multe dintre următoarele stări:

- anemie;
- trombocitopenie (număr scăzut de trombocite în sânge);
- boală osoasă;
- ficat mărit sau splină mărită.



Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă.

Cum se utilizează Cerezyme?

Pacienții cu boala Gaucher trebuie tratați de medici cu experiență în abordarea terapeutică a bolii. Cerezyme se administrează, de obicei, prin perfuzare o dată la două săptămâni. Doza și frecvența administrării perfuziilor trebuie ajustate în funcție de simptomele și de răspunsul la tratament al fiecărui pacient în parte. Primele câteva perfuzii trebuie administrate încet, iar ulterior viteza perfuziei poate fi mărită sub supravegherea unui doctor sau a unei asistente. După ce au fost instruiți în acest sens, pacientul sau îngrijitorul acestuia pot administra perfuzia la domiciliu, dacă medicul consideră acest lucru corespunzător.

Cum acționează Cerezyme?

Boala Gaucher a fost tratată anterior cu ajutorul unei enzime numite alglucerază, preparată din placentă umană. Imigluceraza, substanța activă din Cerezyme, este o copie a acestei enzime, obținută printr-o metodă cunoscută sub denumirea de „tehnologia ADN-ului recombinant”: enzima este obținută dintr-o celulă care a primit o genă (ADN), care o face capabilă să producă enzima. Imigluceraza înlocuiește enzima care lipsește în cazul bolii Gaucher, contribuind la descompunerea glucozilceramidei și împiedicând acumularea acesteia în organism.

Cum a fost studiat Cerezyme?

Pentru boala Gaucher de tip 1, Cerezyme a fost studiat în cadrul a trei studii, pe un total de 40 de pacienți. Acesta este un număr acceptabil deoarece boala este rară. Studiile au comparat capacitatea Cerezyme și a alglucerazei de a controla simptomele bolii, de exemplu, sporind numărul de globule roșii și de trombocite din sânge și reducând dimensiunea ficatului și a splinei.

Pentru boala Gaucher de tip 3, care este o formă extrem de rară a bolii, societatea a prezentat date din articolele publicate și dintr-un registru special al pacienților cu boala Gaucher.

Ce beneficii a prezentat Cerezyme pe parcursul studiilor?

Studiile au arătat că Cerezyme este la fel de sigur și eficace ca algluceraza în ceea ce privește controlul simptomelor bolii Gaucher. De asemenea, s-a demonstrat că pacienții pot trece fără probleme de la tratamentul cu alglucerază la cel cu Cerezyme.

Care sunt riscurile asociate cu Cerezyme?

Cele mai frecvente efecte secundare asociate cu Cerezyme (observate la 1 până la 10 pacienți din 100) sunt dispneea (respirație îngreunată), tusea, urticaria (bășicuțe pe piele) sau angioedemul (umflături sub piele), pruritul (mâncărime), erupțiile cutanate și reacțiile de hipersensibilitate (reacții alergice).

Pentru lista tuturor efectelor secundare raportate asociate cu Cerezyme, a se consulta prospectul.

Pacienții pot dezvolta anticorpi (proteine produse ca răspuns la Cerezyme și care pot afecta tratamentul) și trebuie monitorizați pentru descoperirea oricărei reacții alergice la Cerezyme.

Cerezyme nu se administrează persoanelor care pot prezenta hipersensibilitate (alergie) la imiglucerază sau la oricare alt ingredient al acestui medicament.

De ce a fost aprobat Cerezyme?

CHMP a hotărât că Cerezyme oferă un control eficient al simptomelor non-neurologice ale bolii Gaucher de tip 1 și 3. Comitetul a hotărât că beneficiile Cerezyme sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat acordarea autorizației de introducere pe piață pentru acest produs.

Alte informații despre Cerezyme:

Comisia Europeană a acordat Genzyme Europe B.V. o autorizație de introducere pe piață pentru Cerezyme, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 17 noiembrie 1997. Autorizația de introducere pe piață este valabilă pe perioadă nelimitată.

EPAR-ul complet pentru Cerezyme este disponibil [aici](#). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Cerezyme, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 08-2010.