

Številka: 1472-17/2010  
Datum: 7.5.2010

Ptujska ulica 21  
SI – 1000 Ljubljana  
t + 386 (0)8 2000 500  
f + 386 (0)8 2000 510  
www.jazmp.si

**SPOROČILO ZA JAVNOST**  
**zmanjšana dobava zdravil Fabrazyme in Cerezyme - posodobljena**  
**začasna priporočila za zdravljenje**

Družba Genzyme, imetnik dovoljenja za promet z zdravili Fabrazyme (agalzidaza beta) in Cerezyme (imigluceraza), je obvestila Evropsko agencijo za zdravila o podaljšanju zmanjšane dobave omenjenih zdravil.

Zato se je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini pri Agenciji (CHMP) odločil za **nova začasna priporočila za zdravljenje, ki pa ne spreminjajo trenutno odobrenih informacij o zdravilih Fabrazyme in Cerezyme in veljajo le do razrešitve omenjenih težav z dobavo.**

Zdravilo **Fabrazyme** se uporablja za zdravljenje bolnikov s Fabryjevo boleznijo, ki je redka, dedna bolezen, pri kateri bolniki nimajo dovolj encima alfa-galaktozidaza A. Pomanjkanje tega encima povzroči kopičenje določenih maščobnih molekul v tkivih, predvsem srcu, ledvicah, očeh in živčnem tkivu.

V času zmanjšane dobave zdravila Fabrazyme so posodobljena priporočila zdravljenja naslednja:

- Otroci in mladostniki (<18 let) naj prejemajo zdravilo Fabrazyme v skladu s priporočenim odmerkom in pogostostjo.
- Odrasli moški bolniki in odrasle ženske bolnice, ki so že zdravljeni/stabilizirani, lahko prejemajo zdravilo Fabrazyme v prilagojenem odmerku 0,3 mg/kg kot vzdrževalni odmerek vsaka dva tedna.
- Vsi bolniki, še posebej bolniki s prilagojenimi režimi odmerjanja morajo biti pod skrbnim kliničnim nadzorom. Vsaka dva meseca je potrebno izvesti popoln zdravniški pregled, vključno z vsemi ustreznimi kliničnimi parametri. Najbolj pomembno je spremljanje ravni GL-3 v plazmi ali urinu, ker je raven GL-3 trenutno najbolj občutljiv parameter.
- Pri bolnikih, pri katerih se pojavi poslabšanje bolezni, je potrebno vzpostaviti prvotno zdravljenje z zdravilom Fabrazyme ali uvesti drugo ustrezno zdravljenje npr. z zdravilom Replagal (agalzidaza alfa).

Zdravilo **Cerezyme** se uporablja za dolgotrajno zdravljenje bolnikov z Gaucherjevo boleznijo, ki je redka dedna bolezen, pri kateri bolniku primanjkuje encima glukocerebrozidaze, ki razgrajuje maščobni odpadni produkt, imenovan glukocerebrozid. Ob odsotnosti encima se glukocerebrozid kopiči v telesu, običajno v jetrih, vranici in kostnem mozgu.

V času zmanjšane dobave zdravila Cerezyme so posodobljena priporočila zdravljenja naslednja:

- Če je možno z medicinskega vidika, naj dojenčki, otroci in mladostniki prejmejo zdravilo Cerezyme v zmanjšanem odmerku ali v zmanjšani pogostosti

infundiranja, ker pri teh 'bolnikih z zgodnjim nastopom bolezni' le-ta najhitreje napreduje in je največje tveganje resnih dolgoročnih zapletov. Noben bolnik ne sme prejemati odmerka, nižjega od 15 enot/kg vsaka 2 tedna, ali pa je treba razmisliti o drugem, ustreznem zdravljenju.

- Odrasli bolniki z visokim tveganjem za razvoj hude, napredovale življenjsko nevarne bolezni ali nosečnice s simptomatsko Gaucherjevo boleznijo naj prav tako prejmejo zdravilo Cerezyme v zmanjšanem odmerku ali v zmanjšani pogostosti infundiranja. Noben bolnik ne sme prejemati odmerka, nižjega od ekvivalenta 15 enot/kg vsaka 2 tedna, ali pa je treba razmisliti o drugem, ustreznem zdravljenju.
- Pri odraslih bolnikih, ki nimajo visokega tveganja za razvoj hude napredovale življenjsko nevarne bolezni, je treba razmisliti o drugem ustreznem zdravljenju ali zdravljenje prekiniti.
- Vse bolnike je potrebno nadzirati glede sprememb ravni hemoglobina, trombocitov in hitotrioxidaze na začetku zdravljenja in nato enkrat vsaka dva meseca. Pri odraslih, pri katerih se v času zmanjšanja/prekinitve odmerka bolezen poslabša, obstaja visoko tveganje za razvoj napredovale bolezni ali zapletov in morajo ponovno začeti prvotno zdravljenje z zdravilom Cerezyme, ali pa je treba razmisliti o drugem, ustreznem zdravljenju.

Do zmanjšane dobave je prišlo zaradi ustavitve izdelave zdravil Cerezyme in Fabrazyme na mestu izdelave Allston Landing, v Združenih državah Amerike junija 2009. CHMP je zato junija 2009 izdalčasne spremembe predpisovanja in uporabe zdravila Cerezyme in Fabrazyme, da bi zagotovili bolnikom nadaljnji dostop do teh zdravil do vzpostavitve nemotenega procesa izdelave. Strokovna javnost je bila o moteni dobavi in začasnih priporočilih obveščena preko neposrednega obvestila za zdravstvene delavce.

Zadnje obvestilo družbe Genzyme navaja, da bo dobava zdravil zaradi novih težav v proizvodnji motena še najmanj do septembra 2010.

Za več informacij glejte spletno stran Evropske agencije za zdravila  
<http://www.ema.europa.eu/>

Pripravili:

Anja Prešern, dr.med.

Milena Radoha Bergoč, mag.farm.



dr. Martina Cvelbar, mag. farm., spec.  
direktorica