

***Upozornění pro lékaře týkající se dodávek léčivého přípravku Cerezyme® (imigluceráza)  
a revidovaná dočasná doporučení pro léčbu***

Vážená paní doktorko, vážený pane doktore,

v srpnu 2009 společnost Genzyme informovala Gaucherovu komunitu, že je k dispozici pouze 20% požadovaného množství přípravku Cerezyme pro období od 15. srpna do konce roku 2009. Společnost Genzyme by Vám ráda poskytla aktuální informace o dočasných doporučeních pro léčbu a o stavu dodávek přípravku Cerezyme.

Doporučení pro léčbu, schválená Výborem pro humánní léčivé přípravky (CHMP), byla obsažena v dopisu ze dne 14. srpna 2009, který jste již dříve obdrželi. Tato doporučení byla diskutována a aktualizována na schůzce expertů, kterou uspořádaly Evropská pracovní skupina pro Gaucherovu chorobu (EWGGD) a Evropská aliance pro Gaucherovu chorobu (EGA). Tyto aktualizace jsou shrnuty ve stanovisku (position paper) publikovaném v časopisu Blood Cells, Molecules, and Diseases (C.E.M. Hollak, et al., Force Majeure: Therapeutic measures in response to restricted supply of imiglucerase (Cerezyme) for patients with Gaucher disease (Blood Cells Mol Dis. 2009 Oct 3 [E-publikace předcházející tisk]).

Souhrnem jsou to tyto aktualizace:

- minimální účinná dávka je upravena na 15 jednotek/kg každé dva týdny místo čtyř týdnů
- těhotné ženy s příznaky onemocnění jsou zahrnuty do seznamu ohrožených pacientů
- rozšířil se seznam specifických příkladů pacientů s Gaucherovou chorobou, kteří mají vysoké riziko život ohrožující progresse onemocnění

To vede k následující revizi doporučení pro léčbu.

Nejčastěji užívaným schématem léčby pro přípravek Cerezyme je aplikace jedné infuze každé dva týdny. Pro období nedostatku tohoto léčivého přípravku byla s EMEA dohodnuta následující doporučení:

- 1/ V případě, že je to z lékařského hlediska možné, novorozenci, děti a adolescenti by měli pokračovat v léčbě přípravkem Cerezyme nižšími dávkami nebo s nižší frekvencí infuzí, protože 'early-onset' pacienti mají nejrychlejší postup onemocnění a riziko vážných dlouhodobých problémů. Žádný takovýto pacient by neměl být léčen dávkou nižší než 15 jednotek/kg každé dva týdny nebo je třeba zvážit alternativní léčbu.
- 2/ Dospělí pacienti s vysokým rizikem závažné, život ohrožující progresse onemocnění nebo těhotné ženy s příznaky Gaucherovy choroby by měli pokračovat v léčbě nižšími dávkami nebo sníženou frekvencí infuzí. Pacienti s vysokým rizikem mají jeden nebo více z následujících faktorů: počet trombocytů < 20000/ $\mu$ l; trombocytopenie a krvácení; symptomatická anemie; závažná přidružená onemocnění, která vyžadují léčbu imiglucerázou (onemocnění, která u pacientů zvyšují riziko krvácení, např. cirhóza jater, větší chirurgický zákrok); nutnost chemoterapie; onemocnění plic způsobené infiltrací Gaucherovými buňkami; nová akutní kostní příhoda během posledních 12 měsíců. Žádný takovýto pacient by neměl být léčen dávkou nižší než 15 jednotek/kg každé dva týdny nebo je třeba zvážit alternativní léčbu.
- 3/ U dospělých pacientů bez klinických známek život ohrožující progresse nemoci, je třeba zvážit alternativní léčbu nebo dočasné přerušování léčby.

- 4/ U všech pacientů by měly být přiměřeně sledovány změny hladiny hemoglobinu, trombocytů a chitotriosidázy, a to na začátku změny terapie a dále jednou za dva měsíce. Dospělí pacienti, u kterých se objeví známky život ohrožující progrese onemocnění v době léčby sníženým dávkováním nebo v době přerušování léčby, by měli znovu zahájit původní léčbu přípravkem Cerezyme nebo je třeba zvážit alternativní léčbu (viz bod 2).

Nežádoucí účinky přípravku Cerezyme mají být hlášeny jako obvykle. Připomínáme lékařům, aby do zdravotnické dokumentace uváděli použitou šarži přípravku.

Jedná se o dočasná doporučení, současný SPC přípravku Cerezyme se nemění. Doporučení platí do doby, dokud nebudou vyřešeny problémy s dodávkami přípravku.

Výrobní závod Allston je po asanaci v současné době v plném provozu. Výroba běží ve všech bioreaktorech dle očekávání. Propuštění přípravku Cerezyme z obnovené výroby do oběhu je očekáváno podle plánu na konci tohoto roku a předpokládáme, že pacienti se budou moci vrátit k normálnímu dávkování pro přípravek Cerezyme během prvních tří měsíců roku 2010.

V případě jakýchkoliv dotazů neváhejte kontaktovat lokální pobočku společnosti Genzyme prostřednictvím e-mailu ([petr.seidl@genzyme.com](mailto:petr.seidl@genzyme.com)) nebo telefonicky na čísle 731 612 948.

S pozdravem,



Carlo Incerti, MD.  
Vedoucí R&D Europe