



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## **Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost**

---

# Cerezyme

## imigluceráza

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Cerezyme. Objasňuje, jakým způsobem Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) vyhodnotil tento přípravek, aby mohl vypracovat své stanovisko k vydání rozhodnutí o registraci a doporučení ohledně podmínek pro používání přípravku Cerezyme.

### **Co je Cerezyme?**

Cerezyme je prášek pro přípravu infuzního roztoku (kapání do žíly). Obsahuje léčivou látku imigluceráza.

### **Na co se přípravek Cerezyme používá?**

Přípravek Cerezyme je určen k dlouhodobé léčbě pacientů s Gaucherovou chorobou. Gaucherova choroba je vzácné dědičné onemocnění. Osoby trpící tímto onemocněním nemají dostatek enzymu označovaného jako kyselá beta-glukosidáza, který za běžných okolností štěpí odpadní produkt tuků zvaný glukosylceramid. Bez tohoto enzymu se glukosylceramid hromadí v těle, obvykle v játrech, slezině a kostní dřeni, což vyvolává příznaky onemocnění: anémii (snížení počtu červených krvinek), únavu, snadnou tvorbu modřin a náchylnost ke krvácivosti, zvětšení sleziny a jater a bolest kostí a zlomeniny.

Přípravek Cerezyme se používá u pacientů s Gaucherovou chorobou typu 1, která nepostihuje nervové buňky, nebo Gaucherovou chorobou typu 3, která nervové buňky postihuje, ale postupuje pomalu.

Pacienti musí vykazovat příznaky, které nepostihují nervový systém, včetně některého nebo několika z těchto onemocnění:

- anémie,
- trombocytopenie (nízký počet krevních destiček),
- onemocnění kostí,



- zvětšená játra nebo slezina.

Tento lék je dostupný pouze na lékařský předpis.

## **Jak se přípravek Cerezyme používá?**

Léčba pacientů s Gaucherovou chorobou by měla být vedena lékaři, kteří mají znalosti ohledně léčby tohoto onemocnění a mají s ní praktické zkušenosti. Přípravek Cerezyme se obvykle podává infuzí každé dva týdny. Dávku a frekvenci podávání infuzí je třeba upravit podle příznaků a reakcí na léčbu každého jednotlivého pacienta. Několik počátečních infuzí by mělo být podáno pomalu, pak může být rychlost infuze pod dohledem lékaře nebo zdravotní sestry zvýšena. Po proškolení může pacient nebo ošetřující osoba podávat infuzi doma, pokud se lékař domnívá, že je to vhodné.

## **Jak přípravek Cerezyme působí?**

Gaucherova choroba byla dříve léčena pomocí enzymu označovaného jako algluceráza, který byl získáván z lidské placenty. Imigluceráza, léčivá látka v přípravku Cerezyme, je kopií tohoto enzymu, která se vyrábí metodou označovanou jako „technologie rekombinantní DNA“: enzym je vytvářen buňkou, do které byl vložen gen (DNA), díky němuž je schopná ho produkovat. Imigluceráza u Gaucherovy choroby nahrazuje chybějící enzym, čímž napomáhá štěpení glukosylceramidu a zastavuje jeho hromadění v těle.

## **Jak byl přípravek Cerezyme zkoumán?**

U Gaucherovy choroby typu 1 byl přípravek Cerezyme zkoumán ve třech studiích, do kterých bylo zařazeno celkem 40 pacientů. Jde o přijatelný počet, neboť toto onemocnění je vzácné. Studie porovnávaly schopnost přípravku Cerezyme a alglucerázy kontrolovat příznaky onemocnění, jako je zvýšení počtu červených krvinek a krevních destiček v krvi a zmenšení jater a sleziny.

U Gaucherovy choroby typu 3, která je velice vzácná, společnost předložila údaje z publikovaných článků a ze zvláštního registru pacientů s Gaucherovou chorobou.

## **Jaký přínos přípravku Cerezyme byl prokázán v průběhu těchto studií?**

Studie prokázaly, že přípravek Cerezyme je v rámci kontroly příznaků Gaucherovy choroby stejně bezpečný a účinný jako algluceráza. Dále bylo prokázáno, že pacienti mohou být bez rizika převedeni z léčby alglucerázou na léčbu přípravkem Cerezyme.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Cerezyme?**

Mezi nejběžnější vedlejší účinky přípravku Cerezyme (zaznamenané u 1 až 10 pacientů ze 100) patří dyspnoe (potíže s dýcháním), kašel, urtikaria (kopřivka) nebo angioedém (podkožní otok), pruritus (svědění), vyrážka a hypersenzitivní (alergické) reakce. Úplný seznam vedlejších účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Cerezyme je uveden v příbalových informacích. U pacientů se mohou vytvořit protilátky (bílkoviny, které se vytvářejí v reakci na přípravek Cerezyme a mohou ovlivnit léčbu). Pacienti by měli být sledováni s ohledem na možný výskyt alergických reakcí spojených s užíváním přípravku Cerezyme.

Přípravek Cerezyme by neměly užívat osoby s možnou přecitlivělostí (alergií) na imiglucerázu nebo na kteroukoli jinou složku přípravku.

## **Na základě čeho byl přípravek Cerezyme schválen?**

Výbor CHMP rozhodl, že přípravek Cerezyme poskytuje účinnou kontrolu jiných než neurologických příznaků Gaucherovy choroby typu 1 a 3. Výbor rozhodl, že přínosy přípravku Cerezyme převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby mu bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

## **Další informace o přípravku Cerezyme:**

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Cerezyme platné v celé Evropské unii společnosti Genzyme Europe B.V. dne 17. listopadu 1997. Rozhodnutí o registraci je platné po neomezenou dobu.

Plné znění Evropské veřejné zprávy o hodnocení (EPAR) pro přípravek Cerezyme je k dispozici [zde](#).

Další informace o léčbě přípravkem Cerezyme naleznete v příbalových informacích (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo kontaktujte svého lékaře či lékárníka.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 08-2010.