



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR - sammendrag for offentligheden

Cerezyme

imiglucerase

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Cerezyme. Det forklarer, hvordan Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsføringstilladelse og til sine anbefalinger om anvendelsesbetingelserne for Cerezyme.

Hvad er Cerezyme?

Cerezyme er et pulver, der blandes til en opløsning til infusion (dråbetilførsel i en vene). Det indeholder det aktive stof imiglucerase.

Hvad anvendes Cerezyme til?

Cerezyme anvendes til langtidsbehandling af patienter med Gauchers sygdom, som er en sjælden, arvelig sygdom. Patienter med sygdommen producerer ikke tilstrækkeligt af enzymet syre β -glucosidase. Dette enzym nedbryder normalt et fedtstof kaldet glucosylceramid, som er et affaldsprodukt. Uden enzymet ophobes glucocerebrosid i kroppen, typisk i lever, milt og knoglemarv, hvilket er årsag til sygdommens symptomer: anæmi (for lavt antal røde blodlegemer), træthed, tendens til at få blå mærker, blødningstendens, forstørret milt og lever samt knoglesmerter og knoglebrud.

Cerezyme anvendes hos patienter med Gauchers sygdom type 1, som ikke påvirker nervecellerne eller Gauchers sygdom type 3, som er langsomt fremskridende og påvirker nervecellerne. Patienterne skal have symptomer, som ikke påvirker nervesystemet, herunder en eller flere af følgende tilstande:

- anæmi (lavt antal røde blodlegemer)
- trombocytopeni (lavt antal blodplader)

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 **Facsimile** +44 (0)20 7418 8416

E-mail info@ema.europa.eu **Website** www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



- knoglesygdom
- forstørret lever eller forstørret milt.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.

Hvordan anvendes Cerezyme ?

Patienter med Gauchers sygdom bør behandles af læger med kendskab til behandling af sygdommen. Cerezyme gives sædvanligvis ved infusion hver anden uge. Dosen og hvor ofte infusionerne gives skal tilpasses hver enkelt patients symptomer og reaktion på behandlingen. De første infusioner skal gives langsomt, men derefter kan infusionshastigheden øges under opsyn af en læge eller sygeplejerske. Efter behørig instruktion kan patienten eller plejeren give infusionen hjemme, hvis lægen anser det for hensigtsmæssigt.

Hvordan virker Cerezyme?

Til behandling af Gauchers sygdom har man tidligere anvendt et enzym kaldet alglucerase, som blev fremstillet af human moderkage. Det aktive stof i Cerezyme, imiglucerase, er en kopi af dette enzym, som fremstilles ved hjælp af "rekombinant DNA-teknologi": Enzymet fremstilles af en celle, som har modtaget et gen (DNA), der sætter cellen i stand til at producere enzymet. Imiglucerase erstatter det manglende enzym i Gauchers sygdom, som hjælper med at nedbryde glucosylceramid og forhindrer det i at hobe sig op i kroppen.

Hvordan blev Cerezyme undersøgt?

Behandling af Gauchers sygdom type 1 med Cerezyme er undersøgt i tre undersøgelser af i alt 40 patienter. Dette er et acceptabelt antal, da sygdommen er sjælden. I undersøgelserne har man undersøgt, hvor effektivt Cerezyme og alglucerase er til at holde symptomerne på sygdommen under kontrol, bl.a. til at øge antallet af røde blodlegemer og blodplader samt mindske størrelsen af leveren og milten.

De oplysninger, firmaet har fremlagt om Gauchers sygdom type 3, som er en yderst sjælden form af sygdommen, stammer fra publicerede artikler og fra et særligt register over patienter med Gauchers sygdom.

Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Cerezyme?

Undersøgelserne har vist, at Cerezyme er lige så sikkert og effektivt som alglucerase til at holde symptomerne på Gauchers sygdom under kontrol. Det er desuden påvist, at det er forsvarligt at lade patienterne skifte fra behandling med alglucerase til Cerezyme.

Hvilke risici er der forbundet med Cerezyme?

De hyppigste bivirkninger ved Cerezyme (der ses hos mellem 1 og 10 patienter ud af 100) er dyspnø (åndenød), hoste, urticaria (nældefeber) eller angioedem (hævelse under huden), pruritus (kløe), udslæt og allergiske reaktioner. Den fuldstændige liste over alle de indberettede bivirkninger ved Cerezyme fremgår af indlægssedlen. Patienterne kan udvikle antistoffer (proteiner, der dannes i kroppen som reaktion på Cerezyme og som kan påvirke behandlingen), og de bør overvåges for allergiske reaktioner over for Cerezyme.

Cerezyme må ikke anvendes til personer, der kan være overfølsomme (allergiske) over for imiglucerase eller andre af indholdsstofferne.

Hvorfor blev Cerezyme godkendt?

CHMP konkluderede, at Cerezyme giver effektiv kontrol med de ikke-neurologiske symptomer på Gauchers sygdom type 1 og 3. Udvalget konkluderede, at fordelene ved Cerezyme er større end risiciene, og anbefalede udstedelse af markedsføringstilladelse.

Andre oplysninger om Cerezyme:

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Cerezyme to Genzyme Europe B.V. den 17. november 1997. Markedsføringstilladelsen er gyldig på ubegrænset tid.

Den fuldstændige EPAR for Cerezyme findes [her](#). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Cerezyme, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 08-2010.