



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

Cerezyme

ιμιγλυκεράση

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Cerezyme. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) αξιολόγησε το φάρμακο προτού διατυπώσει τη θετική της γνώμη για τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας, καθώς και τις συστάσεις της σχετικά με τους όρους χρήσης του Cerezyme.

Τι είναι το Cerezyme;

Το Cerezyme είναι κόνις για την παρασκευή διαλύματος προς έγχυση (ενστάλαξη σε φλέβα). Περιέχει τη δραστική ουσία ιμιγλυκεράση.

Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το Cerezyme;

Το Cerezyme χορηγείται για τη μακροχρόνια θεραπεία ασθενών με τη νόσο του Gaucher. Η νόσος του Gaucher είναι μια σπάνια κληρονομική διαταραχή. Οι ασθενείς που πάσχουν από τη συγκεκριμένη νόσο δεν διαθέτουν επαρκή ποσότητα ενός ενζύμου που ονομάζεται όξινη β-γλυκοζιδάση, το οποίο συνήθως καταλύει ένα λιπώδες υπόλειμμα, το γλυκοσυλοκεραμίδιο. Χωρίς το ένζυμο αυτό, το γλυκοσυλοκεραμίδιο συσσωρεύεται στον οργανισμό και ιδίως στο συκώτι, τον σπλήνα και τον μυελό των οστών, προκαλώντας τα συμπτώματα της ασθένειας: αναιμία (μειωμένος αριθμός αιμοσφαιρίων), κόπωση, εύκολη δημιουργία μωλώπων και τάση για αιμορραγία, σπληνομεγαλία και ηπατομεγαλία, πόνος στα κόκκαλα και κατάγματα.

Το Cerezyme χορηγείται σε ασθενείς με νόσο του Gaucher τύπου 1, η οποία δεν επιδρά στα νευρικά κύτταρα, ή τύπου 3, η οποία επιδεινώνεται σταδιακά και επηρεάζει τα νευρικά κύτταρα. Οι ασθενείς παρουσιάζουν συμπτώματα που δεν επηρεάζουν το νευρικό σύστημα, συμπεριλαμβανομένων μίας ή περισσότερων από τις ακόλουθες παθήσεις:

- αναιμία
- θρομβοκυτοπενία (μειωμένος αριθμός αιμοπεταλίων)



- νόσος των οστών
- διόγκωση του συκωτιού ή του σπλήνα.

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.

Πως χρησιμοποιείται το Cerezyme;

Η αγωγή για τη θεραπεία της νόσου του Gaucher θα πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρούς ειδικούς στη διαχείριση της συγκεκριμένης νόσου. Το Cerezyme χορηγείται συνήθως με έγχυση κάθε δύο εβδομάδες. Η δόση και η συχνότητα των εγχύσεων προσαρμόζονται ανάλογα με τα συμπτώματα και την απόκριση κάθε ασθενούς στην αγωγή. Οι πρώτες δόσεις χορηγούνται με αργή έγχυση, αλλά στη συνέχεια η ταχύτητα της έγχυσης μπορεί να αυξηθεί υπό την επίβλεψη γιατρού ή νοσηλεύτη. Μετά από κατάλληλη εκπαίδευση, η έγχυση μπορεί να χορηγείται από τον ίδιο τον ασθενή ή από νοσηλεύτη κατ' οίκον, εφόσον *κάτι τέτοιο συνιστάται από τον θεράποντα ιατρό*.

Πώς δρα το Cerezyme;

Παλαιότερα στη θεραπεία της νόσου του Gaucher γινόταν χρήση ενός ενζύμου, της αλγλουκεράσης, η οποία παραγόταν από τον ανθρώπινο πλακούντα. Η ιμιγλυκεράση, η δραστική ουσία του Cerezyme, είναι αντίγραφο αυτού του ενζύμου που παράγεται με τη βοήθεια της «τεχνολογίας ανασυνδυασμένου DNA»: το ένζυμο παράγεται από ένα κύτταρο που λαμβάνει ένα γονίδιο (DNA), το οποίο το καθιστά ικανό να παράγει το ένζυμο. Η ιμιγλυκεράση αντικαθιστά το ένζυμο που λείπει από τους ασθενείς που πάσχουν από τη νόσο του Gaucher, συμβάλλοντας έτσι στη διάσπαση του γλυκοσυλοκεραμιδίου, το οποίο παύει να συσσωρεύεται στον οργανισμό.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Cerezyme;

Για την τύπου 1 νόσο του Gaucher, το Cerezyme μελετήθηκε σε τρεις μελέτες στις οποίες μετείχαν συνολικά 40 ασθενείς. Ο αριθμός αυτός είναι αποδεκτός, δεδομένου ότι η ασθένεια είναι σπάνια. Στις μελέτες συγκρίθηκε η ικανότητα του Cerezyme και της αλγλουκεράσης στον έλεγχο των συμπτωμάτων της ασθένειας, όπως η αύξηση του αριθμού ερυθρών αιμοσφαιρίων και αιμοπεταλίων καθώς και η μείωση του μεγέθους του συκωτιού και του σπλήνα.

Για την τύπου 3 νόσο του Gaucher, η οποία αποτελεί εξαιρετικά σπάνια μορφή, η εταιρεία υπέβαλε δεδομένα από δημοσιευμένα άρθρα και από το ειδικό μητρώο ασθενών με νόσο του Gaucher.

Ποιο είναι το όφελος του Cerezyme σύμφωνα με τις μελέτες;

Οι μελέτες έδειξαν ότι το Cerezyme είναι εξίσου ασφαλές και αποτελεσματικό με την αλγλουκεράση στον έλεγχο των συμπτωμάτων της νόσου του Gaucher. Έδειξαν, επίσης, ότι οι ασθενείς μπορούν να μεταβούν με ασφάλεια από την αγωγή με αλγλουκεράση στην αγωγή με Cerezyme.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Cerezyme;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Cerezyme (εμφανίζονται σε 1 έως 10 στους 100 ασθενείς) είναι δύσπνοια (δυσκολία στην αναπνοή), βήχας, κνίδωση (εξάνθημα) ή αγγειοοίδημα (υποδόριο οίδημα), κνησμός (φαγούρα), εξάνθημα και αντιδράσεις υπερευαισθησίας (αλλεργικές αντιδράσεις). Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν για το Cerezyme περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης. Οι ασθενείς ενδέχεται να αναπτύξουν αντισώματα (πρωτεΐνες που

παράγονται από την απόκριση στο Cerezyme και ενδέχεται να επηρεάσουν την αγωγή) και πρέπει να παρακολουθούνται για τυχόν αλλεργική αντίδραση στο Cerezyme.

Το Cerezyme δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που ενδέχεται να παρουσιάσουν υπερευαισθησία (αλλεργία) στην ιμιγλυκεράση ή σε οποιοδήποτε από τα άλλα συστατικά του φαρμάκου.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Cerezyme;

Η CHMP διαπίστωσε ότι το Cerezyme ελέγχει αποτελεσματικά τα μη νευρολογικά συμπτώματα της νόσου του Gaucher τύπου 1 και τύπου 3. Η επιτροπή έκρινε ότι τα οφέλη του Cerezyme υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το εν λόγω φάρμακο.

Λοιπές πληροφορίες για το Cerezyme:

Στις 17 Νοεμβρίου 1997, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, στην Genzyme Europe B.V. για το Cerezyme. Η άδεια κυκλοφορίας ισχύει επ' αόριστον.

Η πλήρης δημόσια έκθεση αξιολόγησης (EPAR) του Cerezyme διατίθεται [εδώ](#). Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Cerezyme, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην ευρωπαϊκή δημόσια έκθεση αξιολόγησης) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 08-2010.