



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## **Povzetek EPAR za javnost**

---

# Cerezyme

## imigluceraza

Ta dokument je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Cerezyme. Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil zdravilo Cerezyme, na podlagi česar je oblikoval mnenje za odobritev dovoljenja za promet z njim in priporočila glede pogojev njegove uporabe.

### **Kaj je zdravilo Cerezyme?**

Zdravilo Cerezyme je prašek za pripravo raztopine za infundiranje (kapalne infuzije v veno). Vsebuje zdravilno učinkovino imiglucerazo.

### **Za kaj se zdravilo Cerezyme uporablja?**

Zdravilo Cerezyme se uporablja za dolgotrajno zdravljenje bolnikov z Gaucherjevo boleznijo. Gaucherjeva bolezen je redka dedna napaka, pri kateri bolniku primanjkuje encima kislá beta-glukozidaza, ki razgrajuje maščobni odpadni produkt, imenovan glukozilceramid. Ob odsotnosti encima se glukozilceramid kopiči v telesu, običajno v jetrih, vranici in kostnem mozgu, kar povzroči simptome bolezni: anemijo (znižane koncentracije rdečih krvničk), utrujenost, povečano verjetnost za nastanek hematomov in nagnjenost h krvavitvam, povečano vranico in jetra ter bolečine v kosteh in zlome kosti.

Zdravilo Cerezyme se uporablja pri bolnikih, ki imajo Gaucherjevo bolezen tipa 1, ki ne prizadene živčnih celic, ali Gaucherjevo boleznijo tipa 3, ki napreduje postopoma in prizadene živčne celice.

Bolniki morajo imeti simptome, ki ne vplivajo na živčni sistem, vključno z enim ali več naslednjih stanj:

- anemijo;
- trombocitopenijo (znižano število trombocitov v krvi);
- boleznijo kosti;
- povečanimi jetri ali vranico.

---

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](mailto:info@ema.europa.eu) **Website** [www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu)

An agency of the European Union



Zdravilo se dobi samo na recept.

## **Kako se zdravilo Cerezyme uporablja?**

Bolnike z Gaucherjevo boleznijo mora zdraviti zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem te bolezni. Zdravilo Cerezyme se običajno daje z infuzijo vsaka dva tedna. Odmerek in pogostost dajanja infuzij je treba prilagoditi glede na posameznikove simptome in odziv na zdravljenje. Prvih nekaj infuzij je treba dati počasi, hitrost dajanja vseh nadaljnjih infuzij pa se lahko nato poveča pod nadzorom zdravnika ali medicinske sestre. Po usposabljanju lahko bolnik ali negovalec zdravilo infundira doma, če zdravnik meni, da je to ustrezno.

## **Kako zdravilo Cerezyme deluje?**

Gaucherjevo bolezen so v preteklosti zdravili z encimom alglucerazo, pridobljenim iz človeške posteljice. Zdravilna učinkovina v zdravilu Cerezyme, imigluceraza, je kopija tega encima, ki ga proizvajajo z metodo, znano kot „tehnologija rekombinantne DNK“, pri kateri celica prejme gen (DNK), s katerim lahko tvori ta encim. Imigluceraza nadomesti manjkajoči encim pri Gaucherjevi bolezni tako, da pomaga razgraditi glukozilceramid in zaustavi njegovo kopičenje v telesu.

## **Kako je bilo zdravilo Cerezyme raziskano?**

Za uporabo pri Gaucherjevi bolezni tipa 1 so zdravilo Cerezyme proučevali v okviru treh študij, v katerih je sodelovalo skupno 40 bolnikov. To število bolnikov je sprejemljivo, saj gre za zelo redko bolezen. V študijah so primerjali učinkovitost zdravila Cerezyme in algluceraze pri nadzoru simptomov bolezni, kot so povečanje števila rdečih krvničk in trombocitov v krvi ter zmanjšanje velikosti jeter in vranice.

Za uporabo zdravila pri Gaucherjevi bolezni tipa 3, ki je izredno redka, je družba predstavila podatke iz objavljenih člankov in posebnega registra bolnikov z Gaucherjevo boleznijo.

## **Kakšne koristi je zdravilo Cerezyme izkazalo med študijami?**

Študije so pokazale, da je zdravilo Cerezyme enako varno in učinkovito pri nadzoru simptomov Gaucherjeve bolezni kot algluceraza. Prav tako je bilo dokazano, da lahko bolniki varno preidejo z zdravljenja z alglucerazo na zdravljenje z zdravilom Cerezyme.

## **Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Cerezyme?**

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Cerezyme (opaženi pri 1 do 10 bolnikov izmed 100) so dispneja (oteženo dihanje), kašljanje, urtikarija (koprivnica) ali angioedem (podkožna oteklina), pruritus (srbenje), izpuščaji in preobčutljivostne (alergijske) reakcije. Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Cerezyme, glejte navodilo za uporabo. Bolniki lahko razvijejo protitelesa (beljakovine, ki se tvorijo kot odziv na zdravilo Cerezyme ter lahko vplivajo na zdravljenje), zato jih je treba nadzorovati, ali prihaja do morebitnih alergijskih reakcij na zdravilo Cerezyme.

Zdravila Cerezyme ne smejo uporabljati osebe, ki utegnejo biti preobčutljive za (alergične na) imiglucerazo ali katero koli drugo sestavino zdravila.

## **Zakaj je bilo zdravilo Cerezyme odobreno?**

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) je zaključil, da zdravilo Cerezyme zagotavlja učinkovit nadzor nad nenevrološkimi simptomi Gaucherjeve bolezni tipa 1 in 3. Odbor je zaključil, da

so koristi zdravila Cerezyme večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se zanj odobri dovoljenje za promet.

### **Druge informacije o zdravilu Cerezyme:**

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Cerezyme, veljavno po vsej Evropski uniji, odobrila družbi Genzyme Europe B.V. dne 17. novembra 1997. Dovoljenje za promet z zdravilom velja za nedoločen čas.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Cerezyme je na voljo [tukaj](#). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Cerezyme preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte s svojim zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 08-2010.