

Naarden, 28.10.2009

**Bezpośredni komunikat skierowany do fachowych pracowników ochrony zdrowia dotyczący dostaw produktu leczniczego Cerezyme® (imigluceraza) oraz zmiany czasowych zaleceń dotyczących leczenia tym produktem**

Szanowni Państwo,

W sierpniu 2009 roku firma Genzyme poinformowała społeczność związaną z chorobą Gauchera o możliwości zaspokojenia tylko 20% światowego zapotrzebowania na produkt leczniczy Cerezyme w okresie od 15 sierpnia do końca 2009 roku. Obecnie, firma Genzyme pragnie uaktualnić czasowe zalecenia dotyczące leczenia produktem Cerezyme oraz informacje o dostawach tego produktu.

Zalecenia dotyczące leczenia uzgodnione z Komitetem ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) i zawarte w liście z dnia 14 sierpnia 2009, który został rozesłany do fachowych pracowników ochrony zdrowia, zostały omówione i zmienione w czasie spotkania ekspertów zorganizowanego przez Europejską Grupę Roboczą ds. Choroby Gauchera (European Working Group on Gaucher Disease, EWGGD) i Europejskie Stowarzyszenie Gauchera (European Gaucher Alliance, EGA). Podsumowanie wprowadzonych zmian zostało zawarte w stanowisku, opublikowanym w piśmie w 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 [Epub ahead of print]).

Podsumowując, zmiany dotyczą określenia najmniejszej skutecznej dawki jako 15 jednostek/ kg mc. podawanej co dwa tygodnie zamiast co cztery tygodnie, włączenia kobiet w ciąży z chorobą objawową do grupy ryzyka i rozszerzenia listy przypadków szczególnych w celu zilustrowania, którzy pacjenci z chorobą Gauchera należą do grupy dużego ryzyka rozwoju zagrażającej życiu progresji choroby.

Te zmiany doprowadziły do podanego poniżej uaktualnienia zaleceń, dotyczących leczenia produktem Cerezyme, skierowanych do fachowych pracowników ochrony zdrowia.

Najczęściej stosowanym schematem dawkowania produktu Cerezyme jest jedna infuzja co dwa tygodnie. Przedstawiamy następujące zalecenia dotyczące leczenia, które zostały uzgodnione z Europejską Agencją Leków EMEA:

- Jeżeli pozwala na to stan zdrowia pacjenta, niemowlęta, dzieci i młodzież powinni otrzymywać produkt Cerezyme w zmniejszonych dawkach lub ze zmniejszoną częstością, ponieważ u pacjentów z wczesną postacią choroby jej progresja jest najszybsza i istnieje ryzyko ciężkich powikłań odległych. Żaden pacjent nie powinien otrzymać dawki mniejszej niż 15 jednostek/ kg mc. co dwa tygodnie lub należy rozważyć inne metody leczenia.
- Dorośli pacjenci z ciężką, zagrażającą życiu postępującą postacią choroby Gauchera oraz kobiety w ciąży z objawową chorobą Gauchera powinni otrzymywać produkt Cerezyme w zmniejszonych dawkach lub ze zmniejszoną częstością. Do grupy pacjentów dużego ryzyka zaliczono pacjentów, u których odnotowano przynajmniej jeden z następujących czynników: liczba płytek krwi < 20 000/ $\mu$ l; trombocytopenia i krwawienie; objawowa niedokrwistość; poważne współistniejące powikłania wymagające leczenia imiglucerazą, takie jak inne uwarunkowania zwiększające ryzyko

krwawienia (np. marskość wątroby, poważniejszy zabieg chirurgiczny); konieczność zastosowania chemioterapii; choroba płuc w wyniku nacieku komórek Gauchera; nowe ostre zaburzenia dotyczące kości w ciągu ostatnich 12 miesięcy. Żaden pacjent nie powinien otrzymać dawki mniejszej niż 15 jednostek/ kg mc. co dwa tygodnie lub należy rozważyć inne metody leczenia.

- U dorosłych pacjentów nie zagrożonych wystąpieniem ciężkiej, zagrażającej życiu postępującej postaci choroby należy rozważyć inne metody leczenia lub przerwać leczenie.
- Wszyscy pacjenci powinni być poddani badaniom w celu kontroli zmiany stężenia hemoglobiny, liczby płytek krwi i aktywności chitotriozydazy w surowicy krwi, odpowiednio przed zmianą leczenia, a następnie dwa razy w miesiącu. U pacjentów, u których wystąpi progresja do ciężkiej, zagrażającej życiu postaci choroby lub powikłania, należy ponownie zastosować wcześniejsze leczenie produktem Cerezyme.

Działania niepożądane po zastosowaniu produktu Cerezyme prosimy nadal zgłaszać zgodnie z dotychczasowymi zasadami. Prosimy o wpisywanie numeru serii podawanego produktu leczniczego w dokumentacji medycznej pacjenta

Przedstawione zalecenia znajdują zastosowanie tylko w czasie ograniczonej dostępności produktu leczniczego Cerezyme i nie zmieniają zatwierdzonej informacji zawartej w charakterystyce produktu leczniczego.

Po przeprowadzeniu procesu odkażania, wytwórnia w Allston Landing działa z pełną mocą produkcyjną. Wszystkie bioreaktory działają na pełną skalę i w sposób prawidłowy. Firma Genzyme zmierza w kierunku rozpoczęcia dostaw nowo wytworzonego produktu Cerezyme pod koniec 2009 roku i przewiduje, że pacjenci będą mogli powrócić do normalnego dawkowania produktu Cerezyme w ciągu pierwszych trzech miesięcy 2010 roku.

Jeśli mają Państwo pytania lub chcą uzyskać więcej informacji, prosimy o kontakt z Genzyme Polska Sp. z o. o., ul. Bonifraterska 17, 00-203 Warszawa, za pośrednictwem poczty elektronicznej ([katarzyna.gorecka@genzyme.com](mailto:katarzyna.gorecka@genzyme.com)), telefonicznie (0-22) 246 0900 lub faksem (0-22) 246 0920.

Z poważaniem,



Carlo Incerti, MD.  
Head of R&D Europe