

28.10.2009

Direkte kommunikasjon til helsearbeidere angående midlertidige behandlingsanbefalinger i forbindelse med tilgang på Cerezyme® (imiglucerase).

Kjære helsearbeider,

I august 2009 informerte Genzyme Gaucher miljøet om at vi kun hadde tilstrekkelig beholdning av Cerezyme til å dekke 20 % av det globale behovet for perioden 15. august til slutten av 2009. Genzyme ønsker nå å gi en oppdatering av de midlertidige behandlingsanbefalingene for Cerezyme og gjeldende status for tilgangen på Cerezyme.

De behandlingsanbefalingene som var avtalt med CHMP og beskrevet i et brev til dere datert 17. august 2009, ble diskutert og revidert ved et ekspertmøte organisert av European Working Group on Gaucher Disease (EWGGD) og The European Gaucher Alliance (EGA). Disse revideringene ble sammenfattet i en artikkel publisert i 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. 3. okt 2009 Oct 3 [Epub før trykking]).

Disse revideringene justerer den laveste effektive dosen til 15 enheter/kg hver 2 uke i stedet for hver 4 uke. Det fastslås at gravide kvinner med symptomatisk sykdom skal inkluderes i listen over utsatte pasienter, og listen over spesifikke eksempler som illustrerer hvilke Gaucher-pasienter som kan ha høy risiko for å utvikle livstruende sykdomsprogresjon, er blitt utvidet.

Dette fører til den følgende oppdateringen av behandlingsanbefalingene i DHPC.

Det mest vanlige behandlingsskjemaet for Cerezyme er én infusjon hver andre uke. I løpet av mangelperioden er anbefalingene som er godkjent av EMEA følgende:

1. Der det er medisinsk mulig, skal småbarn, barn og unge motta Cerezyme med en redusert dose eller redusert infusjonsfrekvens, da disse 'early-onset'-pasientene har den hurtigste sykdomsprogresjonen og er utsatt for alvorlige problemer over tid. Ingen pasienter skal behandles med en lavere dose enn 15 enheter/kg hver 2 uke, eller alternative behandlinger skal vurderes.
2. Voksne pasienter som løper en høy risiko for utvikling av alvorlig, livstruende sykdomsprogresjon eller gravide kvinner med symptomatisk Gaucher-sykdom skal

også motta Cerezyme med redusert dose eller redusert infusjonsfrekvens. Disse høyriskopasientene omfatter pasienter med en eller flere av de følgende kriteriene: blodplateverdier $<20.000/\mu\text{l}$, trombocytopeni og blødninger, symptomatisk anemi; og alvorlig co-morbiditet som krever imiglucerase-behandling, som tilstander som øker blødningstendensen (for eksempel cirrhose, større operative inngrep). Behov for kjemoterapi, lungesykdom forårsaket av Gaucher-celleinfiltrasjon, eller en ny akutt beintilstand i løpet av de siste 12 månedene. Ingen pasienter skal behandles med en lavere dose en 15 enheter/kg hver 2 uke, eller alternative behandlinger skal vurderes.

3. Hos voksne pasienter uten høy risiko for alvorlig livstruende sykdomsprogresjon skal en alternativ behandling vurderes eller behandlingen skal avbrytes.
4. Alle pasienter skal kontrolleres for endringer av nivåer av hemoglobin, blodplater og chitotriosidase, etter behov, ved baseline og hver andre måned deretter. Voksne som opplever en forverring av sykdommen mens de mottar redusert dose eller doseavbrudd løper en høy risiko for å utvikle progressiv sykdom eller komplikasjoner, og skal gjenoppta den originale behandlingen med Cerezyme, eller alternativ behandling skal vurderes (se punkt 2).

Bivirkninger av Cerezyme skal rapporteres som vanlig til RELIS i egen helseregion og leger blir anmodet om å dokumentere batchnumre i pasientjournalen.

Dette er midlertidige anbefalinger og endrer ikke gjeldende godkjent produktinformasjon for Cerezyme. Anbefalingene gjelder bare til forsyningsproblemene er løst.

Allston Landing produksjonsanlegg er nå i full drift etter sterilisering. Alle bioreaktorer drives ved full kapasitet og fungerer bra. Vi er i rute med å begynne forsendelser av Cerezyme fra denne nye produksjonen ved slutten av 2009 og regner med at pasienter vil kunne gjenoppta normale doser av Cerezyme innen de første tre månedene av 2010.

Skulle du ha behov for mer informasjon, ber vi deg kontakte lege Mette Isaksen, Genzyme Danmark, på e-mail: mette.isaksen@genzyme.com eller telefon (+45) 3271 2616.

Med vennlig hilsen



Carlo Incerti, MD.
Leder for R&D Europe