



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sintesi destinata al pubblico

Cerezyme

imiglucerasi

Questo documento è la sintesi di una relazione di valutazione pubblica europea (EPAR) per Cerezyme. L'EPAR illustra il modo in cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha valutato il medicinale ed è giunto a formulare un parere favorevole alla concessione dell'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di Cerezyme.

Che cos'è Cerezyme?

Cerezyme è una polvere con cui si prepara una soluzione per infusione (somministrazione goccia a goccia in vena). Contiene il principio attivo imiglucerasi.

Per che cosa si usa Cerezyme?

Cerezyme si usa per il trattamento a lungo termine di pazienti affetti da malattia di Gaucher. La malattia di Gaucher è una malattia rara ereditaria caratterizzata da deficit di un enzima chiamato beta-glucosidasi acida, che normalmente decompone un prodotto lipidico di scarto chiamato glucosilceramide. Senza questo enzima, il glucosilceramide si accumula nell'organismo, in genere nel fegato, nella milza e nel midollo osseo, scatenando i sintomi della malattia: anemia (bassi livelli di globuli rossi), stanchezza, tendenza alle ecchimosi e alle emorragie, ingrossamento della milza e del fegato, dolore alle ossa e fratture.

Cerezyme è indicato in pazienti con malattia di Gaucher di tipo 1, che non colpisce le cellule nervose, o di tipo 3, che progredisce lentamente e colpisce le cellule nervose. I pazienti devono presentare sintomi che non interessano il sistema nervoso, tra cui una o più delle seguenti condizioni:

- anemia;
- trombocitopenia (bassa conta di piastrine nel sangue);
- problemi alle ossa;



- ingrossamento del fegato o della milza.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Come si usa Cerezyme?

I pazienti affetti dalla malattia di Gaucher devono essere curati da medici esperti nel trattamento di questa malattia. Cerezyme normalmente viene somministrato mediante infusione ogni due settimane. La dose e la frequenza delle infusioni devono essere adeguate a ciascun paziente in base ai sintomi e alla risposta al trattamento. Le prime infusioni devono essere somministrate lentamente e in seguito la velocità dell'infusione può essere aumentata sotto il controllo di un medico o di un infermiere. Dopo aver ricevuto adeguate istruzioni, il paziente o chi si occupa dell'assistenza possono praticare l'infusione a casa, se il medico lo ritiene opportuno.

Come agisce Cerezyme?

In passato la malattia di Gaucher veniva curata con l'uso di un enzima chiamato alglucerasi, che era preparato a partire da placenta umana. L'imiglucerasi, il principio attivo di Cerezyme, è una copia di questo enzima, che è prodotta con un metodo noto come "tecnologia del DNA ricombinante": l'enzima viene ottenuto da una cellula in cui è stato inserito un gene (DNA) che la rende capace di produrre l'enzima. L'imiglucerasi sostituisce l'enzima che manca nella malattia di Gaucher e favorisce la decomposizione del glucosilceramide, evitandone l'accumulo nell'organismo.

Quali studi sono stati effettuati su Cerezyme?

Per la malattia di Gaucher di tipo 1, Cerezyme è stato esaminato in tre studi svolti su un totale di 40 pazienti, numero accettabile se si considera che la malattia è rara. Questi studi hanno confrontato la capacità di Cerezyme e quella dell'alglucerasi di controllare i sintomi della malattia di Gaucher, valutando cioè l'aumento del numero di globuli rossi e di piastrine nel sangue e la diminuzione del volume di fegato e milza.

Per la malattia di Gaucher di tipo 3, che è estremamente rara, la ditta ha presentato dati provenienti da articoli pubblicati e da un registro speciale di pazienti con malattia di Gaucher.

Quali benefici ha mostrato Cerezyme nel corso degli studi?

Gli studi condotti hanno mostrato che Cerezyme è sicuro ed efficace tanto quanto l'alglucerasi nel controllo dei sintomi della malattia di Gaucher. È stato inoltre dimostrato che i pazienti possono passare in tutta sicurezza dal trattamento con alglucerasi a quello con Cerezyme.

Qual è il rischio associato a Cerezyme?

Gli effetti indesiderati più comuni di Cerezyme (rilevati in 1-10 pazienti su 100) sono dispnea (difficoltà di respirazione), tosse, orticaria (eruzione cutanea) o angioedema (gonfiore sottocutaneo), prurito, rash cutaneo e reazioni di ipersensibilità (reazioni allergiche). Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Cerezyme, si rimanda al foglio illustrativo. I pazienti possono sviluppare anticorpi (proteine prodotte come reazione a Cerezyme che possono compromettere il trattamento) e devono essere monitorati per individuare eventuali segni di reazioni allergiche a Cerezyme.

Cerezyme non deve essere usato in persone che potrebbero essere ipersensibili (allergiche) a imiglucerasi o a una qualsiasi delle altre sostanze.

Perché è stato approvato Cerezyme?

Il CHMP ha deciso che Cerezyme consente di controllare in maniera efficace i sintomi non neurologici della malattia di Gaucher di tipo 1 e di tipo 3. Il comitato ha deciso che i benefici di Cerezyme sono superiori ai suoi rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

Altre informazioni su Cerezyme

Il 17 novembre 1997 la Commissione europea ha rilasciato alla Genzyme Europe B.V. un'autorizzazione all'immissione in commercio per Cerezyme, valida in tutta l'Unione europea. L'autorizzazione all'immissione in commercio è valida per un periodo illimitato.

Per la versione completa dell'EPAR di Cerezyme cliccare [qui](#). Per maggiori informazioni sulla terapia con Cerezyme, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) o contattare il proprio medico o farmacista.

Ultimo aggiornamento di questa sintesi: 08-2010.