

<Date>

<Document reference number>

***Upozornění pro lékaře týkající se dodávek léčivých přípravků Cerezyme® (imigluceráza) a Fabrazyme (agalsidáza beta) a dočasných doporučení pro léčbu***

Vážená paní doktorko, Vážený pane doktore,

společnost Genzyme by Vás ráda informovala o skutečnosti, že výroba přípravků Cerezyme a Fabrazyme byla dočasně pozastavena. Důsledkem může být nedostatek obou přípravků, které se používají k léčbě pacientů s Gaucherovou, resp. Fabryho nemocí.

Předpokládáme, že nedostatek obou přípravků bude vyřešen do konce roku 2009. V tomto období existuje riziko opoždění dodávek a z toho plynoucí možné přerušení léčby.

Na základě konzultací s Evropskou lékovou agenturou (EMA) vypracovala společnost Genzyme dočasné doporučení, které má za cíl zajistit, aby pacienti, u kterých dochází k akutní progresi onemocnění, pokračovali v léčbě přípravkem Cerezyme a Fabrazyme beze změn, než dojde k obnovení plných dodávek.

**Cerezyme**

Nejčastěji užívaným schématem léčby je aplikace jedné infuze každé dva týdny. Pro období nedostatku tohoto léčivého přípravku byly s EMA dohodnuty následující doporučení:

- Novorozenci, děti a adolescenti by měli pokračovat v léčbě stejnými dávkami a se stejnou frekvencí infuzí, protože 'early-onset' pacienti mají nejrychlejší postup onemocnění a riziko vážných dlouhodobých problémů.
- Dospělí pacienti, s aktivní progresí onemocnění (např. s plicní hypertenzí, s aktivní kostní nemocí, závažnou trombocytopenií nebo anemií) by měli pokračovat v léčbě stejnými dávkami a se stejnou frekvencí infuzí jako doposud.
- Dospělí pacienti bez klinických známek akutní progresi nemoci mají dočasně pokračovat v léčbě upravenou dávkou (50%) každé 2 týdny, či redukovat frekvenci infuzí při zachování dávky (infuze jednou měsíčně při zachování dávky na infuzi). Žádný pacient nemá být léčen nižší dávkou, než 15U/kg každé dva týdny. U pacientů mají být sledovány změny hladiny hemoglobinu, trombocytů a chitotriosidázy na začátku terapie a dále jednou za dva měsíce.

**Fabrazyme**

Nejačastěji užívaným schématem léčby je aplikace jedné infuze každé dva týdny. Po dobu nedostatku tohoto léčivého přípravku byly s EMA dohodnuty následující doporučení:

- Děti, adolescenti (<18 let) a dospělí muži mají dostávat Fabrazyme dle doporučené dávky a frekvence.
- Dospělé ženy, bez klinicky významné orgánové dysfunkce nebo poškození orgánů mohou dostávat Fabrazyme v upravené dávce 0,3-0,5 mg/kg každé dva týdny. U pacientů mají být sledovány změny hladiny GL-3 v moči na začátku terapie a dále každé dva měsíce.

Nežádoucí účinky u obou přípravků mají být hlášeny jako obvykle, připomínáme lékařům, aby do zdravotnické dokumentace uváděli použitou šarži přípravku.

Jedná se o dočasná doporučení, současné SPC přípravků Cerezyme a Fabrazyme se nemění. Doporučení dodržujte jen do doby, dokud nebudou problémy vyřešeny.

V případě jakýchkoliv dotazů neváhejte kontaktovat lokální pobočku společnosti Genzyme na e-mailu [petr.seidl@genzyme.com](mailto:petr.seidl@genzyme.com), telefon 731 61 29 48

S pozdravem,  
Carlo Incerti, MD.  
Vedoucí R&D Europe