

24. avgust 2009

Dragi prijatelji,

V teh, za gaucherjevo skupnost težkih časih, vas želimo obvestiti o novostih v zvezi s pomanjkanjem zalog Cerezymo in kako se s tem soočamo v Evropi.

Kot veste, je bil 13./14. junija pri proizvodnji Cerezymo (Genzyme, ZDA) odkrit virus. Čeprav ni znano, da bi ta virus lahko okužil ljudi, so proizvodnjo Cerezymo zaustavili in sanirali proizvodni obrat. Nato je proizvodnja ponovno začela teči in pričakujemo, da bo novi proizvod na voljo sredi novembra, polna oskrba s Cerezymom pa bo spet možna na začetku prihodnjega leta.

Sprva je bilo pričakovano, da bo zaustavitev proizvodnje povzročila globalno zmanjšanje oskrbe s terapijo na 60 % prvotne oskrbe. Na podlagi teh predvidevanj je delovna skupina »EU stakeholders group« pripravila »Priporočila gaucherjevi skupnosti v zvezi z upravljanjem zalog Cerezymo«. Takrat je bilo mišljeno, da bo ves Cerezyme, ki je bil še v proizvodni fazi, uporaben za bolnike. Ker bi bilo v ta namen potrebno ta Cerezyme vrniti v saniran proizvodni obrat, se je podjetje Genzyme odločilo, da ne tvega ponovne okužbe in tega materiala ne uporabi. Učinek te odločitve je ta, da je 80 % Cerezymo, ki je še v proizvodni fazi, neuporabnega.

Podjetje Genzyme se je 10. avgusta odločilo, da je potrebno globalne zaloge Cerezymo zmanjšati na približno 20 % prvotnega normalnega odmerka do konca leta, če želimo, da bo Cerezyme dostopen najbolj ranljivim bolnikom. To ima seveda zelo resne in takojšnje posledice za vse bolnike.

Podjetje Genzyme je pripravilo PowerPoint-predstavitev, s katero prikazuje posamezne dogodke, ki so pripeljali do trenutne situacije pomanjkanja Cerezymo.

Evropska agencija za zdravila (EMA) je pripravila odgovore na najpogostejša vprašanja ter priporočila v zvezi s porabo preostalega Cerezymo. Priporoča se dati prednost otrokom, nevronopatičnim bolnikom in odraslim bolnikom s težko, napredujočo obliko bolezni. To pomeni, da se bo vsem bolnikom zmanjšal odmerek, mnogi pa bodo s terapijo prekinili za nekaj mesecev. To nam vsekakor ni všeč, je pa neizogibno. Ta načrt oskrbe predvideva, da bo EMA/FDA odobrila sprostitev dveh dodatnih serij Cerezymo. Ti seriji sta bili zaključeni, a ne sproščeni, že pred zaprtjem proizvodnega obrata. Podjetje Genzyme se o njunem sproščanju trenutno dogovarja z EMA/FDA.

Številne države razvijajo svoje načrte glede porabe Cerezymo. Predstavniki Evropske zveze Gaucher (EGA) si želimo poenotenje v upoštevanju priporočil agencije EMA, v velikosti odmerkov Cerezymo in v upravljanju s trenutno krizo znotraj Evrope. Pogovarjamo se s predstavniki podjetja Genzyme in evropskimi zdravniki, ki si prizadevajo za prednostno zdravljenje najbolj ranljivih bolnikov in za določitev prednosti na vseevropski osnovi.



Zdravniki tudi odkrivamo možnosti za dostopnost alternativnih terapij. Tablete Zavesca (Miglustat) so odobrene kot primerna terapija za šibko do zmerno obliko gaucherjeve bolezni. Obstaja sicer možnost stranskih učinkov, vendar EMEA omenja Zavesco v svojih priporočilih, prav tako se zanjo v teh časih odločajo nekateri zdravniki.

Trenutno potekajo tudi klinični poskusi za dve novi encimski terapiji (Velaglucerase od podjetja Shire in prGCD od podjetja Protalix). Protokole kliničnih poskusov za obe terapiji je odobrila ameriška agencija za zdravila (FDA). Ne vemo še, ali ima katero od obeh podjetij na voljo končni proizvod, ki bi bil lahko ponujen bolnikom. Obe podjetji, Shire in Protalix, sta v izjavi za javnost podali informacije v zvezi z odobritvijo njunih protokolov.

Poleg tega podjetje Genzyme izvaja tudi poskuse terapije z »majhno molekulo« (GENZ-112638).

Pri iskanju globalnih rešitev sodelujemo tudi z Nacionalno ustanovo Gaucher iz ZDA.

Da bi bili čimbolj učinkoviti, si moramo izmenjevati informacije. Zato vas prosimo, da nam poveste, kako se spoprijemate s to situacijo v vaši državi. Želimo sodelovati s podjetji in deliti vaše izkušnje z zdravniki. To bo pomagalo izoblikovati navodila in reakcije na trenutno situacijo. Če mislite, da vam lahko pri čem pomagamo, nam prosim povejte.

Zato, prosim, odgovorite in nam povejte, kaj se dogaja. Resnično je pomembno, da si izmenjujemo natančne informacije in da si tako ustvarimo realno sliko te zelo resne situacije znotraj Evrope.

Na koncu se želimo zahvaliti zdravnikom v vseh državah, ki se trudijo zagotoviti prednost najbolj ranljivim bolnikom. Sprejemajo zelo težke odločitve, ki vplivajo na vse naše člane in vsekakor cenimo ves njihov trud.

Sproti vas bomo obveščali o novih informacijah. Do takrat pa pričakujemo vaš odziv.

Lep pozdrav!

Jeremy Manuel O.B.E.

Predsednik Evropske zveze Gaucher

Anne Grethe Lauridsen

Predstavnica EGA za stike z bolniki

*V slovenščino prevedla I. Žnidar.*