

Priporočila gaucherjevi skupnosti v zvezi z upravljanjem zalog Cerezyma

Začasno čuvanje zalog Cerezyma,
da bi zaščitili najbolj ranljive bolnike z gaucherjevo boleznijo

*Priporočila je pripravila delovna skupina »EU Cerezyme Stakeholders Working Group«
24. junija 2009**

Jeremy Manuel
EGA Board Member

Yossi Cohen
EGA Board Member

Nadia Belmatoug, MD
Beaujon Hospital, Clichy, Ass.Publique-Hôpitaux de Paris, France

Maria Domenica Cappellini, MD
Milan University, Italy

Patrick Deegan, MD
Addenbrooke's Hospital, Cambridge, UK

Eugen Mengel, MD
Children's Hospital, Gutenberg+University, Mainz, Germany

Anna Tyłki-Szymanska, MD
Children's Memorial Health Institute, Warsaw, Poland

Ashok Vellodi, MD
Great Ormond Street Hospital, London, UK

Ari Zimran, MD
Shaare Zedek Medical Center, Jerusalem, Israel

Susan Graham, MD
Global Medical Affairs, Gaucher disease, Genzyme Europe BV

Oved Amitay
VP, General Manager, Gaucher Disease Portfolio, Genzyme Corporation

Stephanie Hoffmann
Associate Director, Patient Group Relations, Genzyme Europe BV

Barbara Diana
Associate Product Manager, Genzyme Europe BV

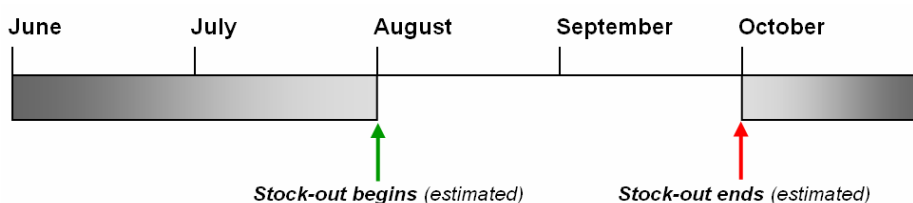
* Nekateri posamezniki, ki so sodelovali v delovni skupini »Cerezyme Stakeholders Working Group«, so zaposleni v Genzymu, nekateri drugi posamezniki ali njihove inštitucije oziroma organizacije pa so ali še prejemale od Genzyma podporo za raziskave, izobraževanja in v druge namene.

Ozadje

V enem od šestih bioreaktorjev na Genzymovem proizvodnem obratu Allston je bil pred kratkim odkrit virus (vesivirus 2117). Ni znano, da bi ta virus povzročil bolezen pri ljudeh, znano pa je, da vpliva na nečloveške celice CHO, ki se uporabljajo za proizvodnjo Cerezymo. Da bi saniral proizvodni obrat in čim hitreje spet zagotovil polno proizvodnjo, je Genzyme začasno zaustavil proizvodnjo Cerezymo® (imigluceraza). Ta začasna prekinitve proizvodnje bo povzročila začasno pomanjkanje dostopnosti Cerezymo.

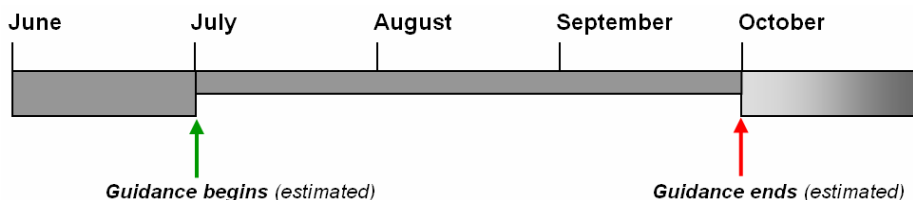
Dodatne serije Cerezymo, proizvedene v obratu Allston, so bile testirane na prisotnost vesivirusa 2117. Prisotnost virusa ni bila odkrita, zato sta FDA in EMEA (Evropska agencija za zdravila, *op. prev.*) odobrili prenos Cerezymo v inventar, ki ima zaključeno testiranje. Genzyme skupaj s FDA in EMEA nadaljuje testiranje dodatnih serij Cerezymo, ki še niso bile sproščene.

Kljub sprostivi teh dodatnih serij pa Genzyme pričakuje pomanjkanje zaloga Cerezymo. Če ne bo prišlo do sprememb v trenutni porabi Cerezymo, bodo zaloge pošle konec julija 2009, pomanjkanje pa se bo predvidoma nadaljevalo do sredine septembra ali začetka oktobra 2009, ko bo po začetku proizvodnje ponovno na voljo dodatni Cerezyme (pomanjkanje Cerezymo bi po trenutnih predvidevanjih trajalo 6-8 tednov).



Gaucherjeva bolezen je heterogena tako v klinični sliki kot v napredovanju. Začasna prekinitve zdravljenja s Cerezymom bi lahko povzročila različne posledice na zdravju nekaterih najbolj ranljivih bolnikov. Zaradi tega je potrebno narediti načrt, s katerim bomo zaščitili najbolj ranljive bolnike. Le-tem moramo omogočiti neprekinjeno zdravljenje s predpisanim odmerkom Cerezymo celotno obdobje pomanjkanja.

Da bi dosegli ta cilj, se je izoblikovala skupina »Cerezyme Stakeholders Working Group«, ki je pripravila priporočila za začasno zmanjšanje količine Cerezymo pri manj ranljivih bolnikih. Tako pridobljeni Cerezyme bi bil uporabljen za zdravljenje najbolj ranljivih bolnikov, dokler se ne bi ponovno zagotovila zadostna oskrba s Cerezymom.



V skupino »Stakeholders Working Group« so vključeni mednarodno priznani zdravniki s številnimi kliničnimi in znanstvenimi izkušnjami s področja gaucherjeve bolezni. Ti zdravniki niso strokovnjaki s področja virologije in nimajo podrobnega znanja o procesu proizvodnje Cerezymo. Skupina »Stakeholders working group« vključuje tudi predstavnike Evropske zveze Gaucher (EGA) in predstavnike Genzymo (Zdravstvo, Marketing, Zastopanje bolnikov). Predstavniki Genzymo so posredovali informacije o ozadju in koordinirali srečanje.

Final Version

Skupina »Cerezyme Stakeholders Working Group« je pri sestavljanju priporočil za začasno čuvanje zalog Cerezyme upoštevala številna načela:

- Priporočila naj bodo napisana z namenom zaščititi najbolj ranljive bolnike.
- Priporočila naj bodo napisana z namenom minimizirati vsakršno tveganje za vse ostale bolnike.
- Priporočila naj bodo enaka tako za komercialen kot za dobrodelen dostop do zdravila.
- Priporočila naj temeljijo na najboljši dostopni evidenci in izkušnjah.
- Priporočila naj bodo znana in upoštevana vsepovsod.
- Priporočila naj bodo razumljiva in praktična.
- Končno odločitev glede bolnikov naj vedno naredijo njihovi zdravniki.

Priporočila

Skupina »Cerezyme Stakeholders Working Group« se je srečala na spletni konferenci 24. junija 2009, da bi dosegla naslednje cilje:

1. Pregledala in razjasnila, kjer je to potrebno, priporočila EMEA zdravnikom v zvezi z zdravljenjem najbolj ranljivih bolnikov, katerih zdravljenje naj ne bi bilo prekinjeno.
2. Pregledala in razjasnila, kjer je to potrebno, priporočila za začasno zmanjšanje odmerka Cerezyrna ali frekvence infuzij za vse ostale bolnike.
3. Razpravljala, prečistila in razširila priporočila EMEA v zvezi z upravljanjem zaloga Cerezyrna v obdobju začasnega pomanjkanja Cerezyrna.

Ta dokument predpostavlja, da bodo priporočila uporabljana le začasno, kratkoročno in takoj, dokler se obdobje pomanjkanja Cerezyrna ne konča.

Priporočila EMEA DHCP Najbolj ranljivi bolniki

- a. Pri dojenčkih, otrocih in pubertetnikih (t. i. "zgodaj odkriti bolniki") bolezen najhitreje napreduje, kar lahko vodi do resnih dolgotrajnih težav. Zato naj ti bolniki prejema^{jo} doslej predpisan odmerek Cerezyrna v doslej predpisanih časovnih presledkih.
- b. Odrasli bolniki z aktivnim napredovanjem bolezni (npr. s pljučno hipertenzijo, z aktivnimi kostnimi boleznimi, močno trombocitopenijo ali močno anemijo) naj prejema^{jo} doslej predpisan odmerek Cerezyrna v doslej predpisanih časovnih presledkih.

Dodaten komentar k priporočilom:

1. Nosečnice, bolniki tipa III in gaucherjevi bolniki z malignimi obolenji, ki trenutno prejema^{jo} Cerezyme, naj brez prekinitve nadaljujejo s trenutnim odmerkom in frekvenco.
2. Gaucherjevim bolnicam, ki bi zanosile in bi jim terapija koristila, naj bo svetovan premislek o začetku terapije s Cerezymom.
3. Nanovo odkriti bolniki, ki ustrezajo zgornjim kriterijem (a. in b.), naj začnejo s terapijo.

Kot aktivne kostne bolezni so mišljene kostne bolezni, na katere ima zdravljenje s Cerezymom verjetno ugoden učinek, in simptomi, npr. bolečine v kosteh, ki se s terapijo zmanjšajo.

Končno odločitev v zvezi z zdravljenjem posameznih bolnikov naj vedno naredijo zdravniki.

**Priporočila EMEA DHCP
Manj ranljivi bolniki**

- a. Odrasli bolniki brez klinično dokazanega aktivnega napredovanja bolezni naj prejemajo zmanjšan odmerek Cerezyrna (npr. 50 % dosedanjega odmerka vsaka dva tedna) ali naj prejemajo Cerezyme v povečanih časovnih presledkih (npr. enkrat mesečno v dosedanem odmerku).**
- b. Nihče naj ne prejema manj kot 15 enot/kg vsaka dva tedna.**
- c. Aktivna kontrola te skupine bolnikov naj vključuje ustrezno spremljanje koncentracije hemoglobina, števila trombocitov in stopnje aktivnosti hitotriozidaze vsaka dva meseca.**

Dodaten komentar k priporočilom:

1. Stabilni odrasli bolniki, ki prejemajo Cerezyme dve leti ali več, naj bi lahko prekinili s terapijo za največ tri mesece. V času prekinitve naj bi zdravnik posameznega bolnika po svoji presoji in v dogovoru z bolnikom ustrezno spremljal.
2. Določitev odmerka je pogosto individualizirana, zato lahko zdravnik po ustrezni presoji predpiše tudi manj kot 15 enot/kg vsaka dva tedna, če je bolnik že stabilen pri tem odmerku.
3. Za nanovo odkrite bolnike, ki ne ustrezajo kriterijem za »najbolj ranljive bolnike«, naj bo začetek terapije s Cerezymom preložen na obdobje, ko bo konec pomanjkanja Cerezyrna.

Vsak bolnik, ki bi po spremembah v načinu zdravljenja pridobil z gaucherjevo boleznijo povezane simptome (npr. slabotnost, utrujenost, nenavadne poškodbe/modrice), naj se obrne na svojega zdravnika.

Končno odločitev v zvezi z zdravljenjem posameznih bolnikov naj vedno naredijo zdravniki.

Splošne smernice

- a. Priporočila in smernice naj se upoštevajo takoj in povsod z namenom zagotoviti zadostno zalogo Cerezyrna za najbolj ranljive bolnike.
- b. Priporočila in smernice naj se upoštevajo ne glede na to, ali je dostop do Cerezyrna komercialen ali dobrodelen.
- c. Priporočila in smernice naj se upoštevajo, dokler nas Genzyme ne bo obvestil, da so obnovljene zadostne zaloge Cerezyrna.
- d. Po tem začasnem obdobju pomanjkanja Cerezyrna naj se vsem bolnikom vrne način zdravljenja z njihovim prvotno predpisanim odmerkom.
- e. Ta priporočila se še lahko spremenijo, če jih ne bodo povsod upoštevali ali če bo prišlo do sprememb v proizvodnji Cerezyrna.

ICGG Gaucher Registry

Zdravniki (in njihovi bolniki), ki so vključeni v register ICGG Gaucher Registry, naj v register vpisujejo klinične podatke, zbrane v obdobju pomanjkanja in po njem.

Neželeni učinki

O neželenih učinkih Cerezyrna poročajte farmakovigilančnemu oddelku pri Genzymu. Zdravniki naj si zapisujejo številke serij Cerezyrna.

V sloveščino prevedla I. Žnidar.