

Domande e risposte sulla fornitura di Cerezyme e Fabrazyme

L'Agenzia Europea dei Medicinali ha raccomandato quali pazienti hanno la priorità per il trattamento con Cerezyme e Fabrazyme durante la carenza di questi due farmaci prevista nel corso dei prossimi mesi.

La carenza è dovuta ad un problema di produzione nello stabilimento dove i principi attivi di questi farmaci sono prodotti.

Lo scopo della raccomandazione consiste nel garantire che i pazienti con una maggiore necessità del trattamento continuino a ricevere questi farmaci finché l'azienda non risolva i suoi problemi di fornitura.

Che cosa sono Cerezyme e Fabrazyme?

Cerezyme e Fabrazyme sono farmaci utilizzati in due malattie rare, ereditarie, che mettono in pericolo la vita, nelle quali i pazienti sono carenti di un enzima coinvolto nella decomposizione delle sostanze grasse nell'organismo:

- Cerezyme è usato nei pazienti con il morbo di Gaucher, malattia nella quale i pazienti non hanno abbastanza enzima alglucerasi. Cerezyme contiene imiglucerasi, che è una copia dell'enzima naturale;
- Fabrazyme è usato nei pazienti con malattia di Fabry, una malattia nella quale i pazienti non hanno abbastanza enzima chiamato alfa-galattosidasi A. Fabrazyme contiene agalsidasi beta, che è una copia dell'enzima naturale.

In entrambi i farmaci, la sostituzione dell'enzima è fatta con un metodo chiamato "tecnologia del DNA ricombinante": gli enzimi sono ottenuti da cellule che hanno ricevuto geni (DNA) che rendono le stesse cellule capaci di produrre enzimi.

Le cellule sono cresciute in recipienti speciali chiamati "bioreattori" con un processo di oltre tre, quattro mesi, durante il quale l'enzima è estratto dalla coltura a intervalli regolari.

Cerezyme è stato autorizzato a novembre 1997 e Fabrazyme ad agosto 2001. Entrambi i farmaci sono commercializzati in tutti gli Stati Membri dell'Unione Europea.

Qual è il problema con Cerezyme e Fabrazyme?

Prima di quest'anno, Genzyme, l'azienda che produce Cerezyme e Fabrazyme, è venuta a conoscenza di una diminuita produzione da parte dei bioreattori usati per produrre Cerezyme e Fabrazyme nel loro sito di produzione di Allston Landing negli Stati Uniti d'America.

L'azienda ha trovato che i bioreattori sono contaminati con un virus (calicivirus del tipo Vesivirus 2117). Questo virus non è conosciuto come causa di malattia nell'uomo, ma può attaccare le cellule usate per produrre questi farmaci.

La contaminazione ha un impatto sulla crescita delle cellule, intaccando la quantità, ma non la qualità degli enzimi prodotti dalle cellule. Tutti i lotti, preparati usando enzimi prodotti prima della contaminazione che è stata identificata, sono stati analizzati e l'EMEA ha confermato che essi possono essere distribuiti sul mercato.

L'azienda ha chiuso lo stabilimento in attesa che venga sanificato.

Mentre ciò è in corso, Genzyme non può produrre alcun nuovo lotto di Cerezyme o Fabrazyme. Le scorte esistenti di Cerezyme andranno ad esaurimento non prima di agosto 2009, e di ottobre 2009

quelle di Fabrazyme. Al fine di garantire queste scorte il più a lungo possibile, finché l'azienda risolverà i suoi problemi di produzione, la stessa azienda in accordo con l'EMA, ha raccomandato alcune modifiche temporanee sulla modalità d'uso e di prescrizione di Cerezyme e Fabrazyme. Questi cambiamenti dovrebbero essere implementati immediatamente.

Quali sono le raccomandazioni mentre la carenza è in corso?

Cerezyme

Per Cerezyme, la priorità è stabilita per neonati, bambini e adolescenti, e adulti con progressione della malattia. Questi pazienti possono continuare ad assumere Cerezyme al dosaggio standard di una infusione ogni due settimane. Comunque, pazienti adulti senza evidenze cliniche di una progressione della malattia devono ricevere Cerezyme ad una dose ridotta (metà della dose una volta ogni due settimane) o ad una ridotta frequenza di infusione (una volta al mese alla loro dose attuale).

Fabrazyme

Per Fabrazyme, la priorità è stabilita per bambini e adolescenti, e pazienti adulti di sesso maschile, che devono continuare ad assumere Fabrazyme con una infusione ogni due settimane. Comunque, pazienti adulti di sesso femminile, nelle quali la malattia è meno grave, possono ricevere Fabrazyme ad una dose ridotta.

Tutti i pazienti saranno attentamente monitorati durante il trattamento con una dose ridotta di Cerezyme e Fabrazyme. La segnalazione di effetti avversi continuerà secondo la normale prassi. Si ricorda ai medici di riportare il numero dei lotti utilizzati nella scheda del paziente.

Sarà necessario mantenere questi cambiamenti fino a quando le scorte verranno ripristinate, al massimo alla fine dell'anno.

Quali sono le raccomandazioni per i prescrittori?

- I medici che sorvegliano i pazienti con morbo di Gaucher o Fabry devono essere consapevoli della carenza, e devono considerare che i pazienti devono essere indirizzati verso la dose ridotta.

Quali sono le raccomandazioni per i pazienti con malattia di Gaucher?

- Non ci sono conseguenze per i pazienti giovani con la malattia (neonati, bambini e adolescenti) o per pazienti adulti con malattia attiva.
- Pazienti adulti con malattia di Gaucher nei quali la malattia non è attualmente attiva, devono essere contattati dal loro medico per discutere le alternative terapeutiche. Mentre è in corso la carenza, potrebbero essere trattati con la stessa frequenza (ogni due settimane) ma con una dose ridotta, o potrebbero essere chiamati a recarsi in clinica una volta al mese.
- I pazienti che hanno domande devono parlarne con il loro medico o farmacista.

Quali sono le raccomandazioni per i pazienti con malattia di Fabry?

- Non ci sono conseguenze per giovani pazienti con la malattia (neonati, bambini e adolescenti) o per pazienti adulti di sesso maschile.
- I pazienti adulti di sesso femminile con la malattia di Fabry devono essere contattati dal loro medico per discutere le alternative terapeutiche. Nel periodo in cui si verifica la carenza, potrebbero essere trattati con la stessa frequenza (ogni due settimane) ma con una dose ridotta.
- I pazienti che hanno domande devono parlarne con il loro medico o farmacista.

Che cosa succederà?

Genzyme sta inviando specifiche comunicazioni a tutti quelli che prescrivono Cerezyme e Fabrazyme per assicurare che abbiano informazioni complete su come selezionare i pazienti per una riduzione della dose.

Genzyme ha anche informato il Comitato scientifico per i medicinali per uso umano dell'EMA che queste misure di 'stock-sparing' (risparmio delle scorte) non avranno impatto sulle scorte per gli studi clinici in corso.

Mentre l'azienda sta eseguendo la sanitizzazione del suo stabilimento, sta analizzando a fondo, su richiesta dell'EMA, le ragioni sul perché la contaminazione si sia verificata. L'azienda terrà informata l'EMA sulle informazioni trovate.

L'Agenzia Europea dei Medicinali aggiornerà questo documento non appena nuove informazioni saranno disponibili.