



Aan:

De behandelende artsen van Fabrazyme
De betreffende patiëntenorganisaties
De apothekers die Fabrazyme bestellen

BELANGRIJKE INFORMATIE OVER TEKORT AAN FABRAZYME® (AGALSIDASE BETA) EN NIEUWE TIJDELIJKE AANBEVELINGEN VOOR BEHANDELING

Naarden, 29 september 2009

Geachte ,

In overleg met het wetenschappelijke Comité voor geneesmiddelen voor humaan gebruik (CHMP) van het Europese Geneesmiddelenagentschap (EMA), het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG) en de Inspectie voor de Gezondheidszorg (IGZ), heeft Genzyme u in juni 2009 laten weten dat de productie van Fabrazyme® tijdelijk werd stilgelegd. Als gevolg hiervan zou er een tekort aan Fabrazyme ontstaan. Er zijn toen maatregelen genomen om er zeker van te zijn dat de behandeling van patiënten met een actief ziekteproces van de ziekte van Fabry voortgezet kon worden. Artsen werd toen aanbevolen de dosering van volwassen vrouwelijke patiënten te verlagen.

Genzyme wil u met deze brief informeren over een kleinere voorraad Fabrazyme dan werd verwacht na het opnieuw opstarten van de productiefaciliteit in Allston (VS). De voorraad Fabrazyme is op dit moment voldoende om in de periode van 1 oktober tot het einde van het jaar aan 30% van de wereldwijde vraag te voldoen. Het tekort zal naar verwachting eind 2009 zijn verholpen mits er nu verdere restricties worden gesteld aan de in juni 2009 gedane aanbevelingen voor behandeling. Daarom zijn deze aanbevelingen herzien en geldt de verlaging van de dosering nu ook voor volwassen mannelijke patiënten.

Het meest gebruikte toedieningsschema voor Fabrazyme is één infusie (1 mg/kg lichaamsgewicht) per twee weken. Tijdens het tekort worden (in overleg met EMA), de volgende nieuwe behandelingsschema's voorgesteld:

- Kinderen en adolescenten (< 18 jaar) moeten Fabrazyme toegediend krijgen volgens de gebruikelijke dosering en frequentie;
- Volwassen mannelijke en vrouwelijke patiënten, zonder aantoonbaar klinisch significant orgaanfalen of -beschadiging, moeten Fabrazyme toegediend krijgen met een aangepaste dosis van 0,3 mg/kg eens per twee weken;
- Patiënten die een aangepast doseringsschema krijgen dienen onder klinisch toezicht te staan. Een volledig medisch onderzoek, inclusief alle relevante klinische parameters, moet eens per twee maanden worden uitgevoerd. Het is van groot belang om de plasma-GL-3 of de urine-GL-3-spiegel te monitoren, omdat deze spiegel op dit moment de meest gevoelige parameter is. Patiënten die achteruitgaan, moeten weer hun oorspronkelijke dosering krijgen.

Dit doseringsregime is gebaseerd op de "dose maintenance" studie waarbij Fabrazyme eerst (6 maanden) eens per twee weken aan patiënten met de ziekte van Fabry werd toegediend met een dosering van 1 mg/kg. Daarna werd de dosering verlaagd naar 0,3 mg/kg eens per twee weken gedurende 18 maanden. Bij een dosering van 0,3 mg/kg eens per twee weken kon een klaring van GL-3 in bepaalde celtypen bij sommige patiënten worden gehandhaafd; het klinische belang van deze resultaten op de lange termijn is nog niet duidelijk.



Bijwerkingen van Fabrazyme moeten zoals gebruikelijk gerapporteerd worden en artsen wordt erop gewezen de batchnummers in het patiëntendossier te vermelden.

De bovenstaande aanbevelingen zijn tijdelijk en hebben geen invloed op de huidig goedgekeurde productinformatie van Fabrazyme. Deze aanbevelingen zijn slechts van kracht zolang de voorraad onvoldoende is.

Voor meer informatie kunt u contact opnemen met Jaap de Boer, Medische Directeur Genzyme Nederland, via telefoonnummer 035-699 7791 of 06-20874983 of via email jaap.deboer@genzyme.com.

Met vriendelijke groet,

A handwritten signature in blue ink, appearing to be "Jaap de Boer".

Jaap de Boer
Medisch Directeur
Genzyme Nederland