



GENZYME EUROPE BV
GOOIMEER 10
1411 DD NAARDEN
NETHERLANDS
Tel: +31-35-699-1200
Fax: +31-35-694-3214

**BELANGRIJKE INFORMATIE OVER DE BESCHIKBAARHEID VAN CEREZYME®
(IMIGLUCERASE) EN TIJDELIJK GELDENDE AANBEVELINGEN VOOR
BEHANDELING**

Geachte collega,

In augustus 2009 heeft de firma Genzyme patiënten met en behandelaars van de ziekte van Gaucher ingelicht dat de voorraad Cerezyme voldoende was om tot het einde van het jaar aan 20% van de wereldwijde vraag te voldoen. Met deze brief wil Genzyme u op de hoogte brengen van de aangepaste tijdelijke aanbevelingen voor behandeling en de huidige stand van zaken betreffende de leveringen.

De aanbevelingen voor de behandeling zoals overeengekomen 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), u meegedeeld in de brief van 14 augustus 2009, zijn besproken en aangepast tijdens een bijeenkomst van deskundigen. Deze bijeenkomst werd georganiseerd door de European Working Group on Gaucher Disease (EWGGD) en de European Gaucher Alliance (EGA). Deze aanpassingen zijn samengevat in een rapport, gepubliceerd in Blood Cells, Molecules, and Diseases (C.E.M. Hollak, et al., Force Majeure: Therapeutic measures in response to restricted supply of imiglucerase (Cerezyme) for patients with Gaucher disease (Blood Cells Mol Dis. 2009 Oct 3 [Epub ahead of print])).

Nu wordt geadviseerd om de minimale effectieve dosis te veranderen naar 15 eenheden/kg eens per twee weken in plaats van eens per vier weken. Zwangere vrouwen met symptomatische ziekte moeten worden opgenomen in de lijst van kwetsbare patiënten. De lijst met specifieke voorbeelden van Gaucher patiënten die een verhoogd risico hebben op ernstige, levensbedreigende ziekteprogressie is verder uitgebreid.

Dit leidt tot de volgende vernieuwde aanbevelingen voor behandeling:

Het meest gebruikte toedieningschema is één infusie per twee weken. Tijdens het tekort worden (in overleg met EMA), de volgende aanbevelingen voorgesteld:

1. Indien medisch verantwoord moeten zuigelingen, kinderen en adolescenten Cerezyme toegediend krijgen met een verminderde dosis of een verminderde infusiefrequentie. Deze patiënten hebben vanwege de vroeg-optredende vorm van de ziekte van Gaucher de meest progressieve vorm van de ziekte en zij lopen het risico op ernstige lange termijnproblemen. Niemand mag behandeld worden met een dosis lager dan het equivalent van 15 eenheden/kg eens per twee weken. Indien dit niet mogelijk is moet alternatieve behandeling worden overwogen.

2. Volwassen patiënten met een verhoogd risico op ernstige, levensbedreigende ziekteprogressie en zwangere vrouwen met symptomatische ziekte van Gaucher moeten Cerezyme toegediend krijgen met een verminderde dosis of een verminderde infusiefrequentie. Patiënten die gerekend moeten worden tot de groep met dit verhoogde risico zijn patiënten met één of meerdere van de volgende criteria:
 - a. Aantal bloedplaatjes < 20.000 / μ l
 - b. trombocytopenie en bloedingen
 - c. Symptomatische bloedarmoede
 - d. Ernstige co-morbiditeit die imiglucerase behandeling noodzakelijk maakt, zoals, patiënten met een verhoogd bloedingrisico (bijvoorbeeld: cirrhosis, grote operatie), een noodzaak voor chemotherapie, longziektes veroorzaakt door gauchercel infiltraties, een nieuwe acute botcrisis gedurende de laatste 12 maanden.Niemand mag behandeld worden met een dosis lager dan het equivalent van 15 eenheden/kg eens per twee weken. Indien dit niet mogelijk is moet alternatieve behandeling worden overwogen.
3. Bij volwassen patiënten zonder verhoogd risico op ernstige levensbedreigende ziekteprogressie moet een alternatieve behandeling overwogen worden of moet de behandeling onderbroken worden.
4. Alle patiënten moeten gecontroleerd worden op veranderingen in hemoglobine, bloedplaatjes en chitotriosidasespiegels, bij aanvang en vervolgens elke twee maanden. Volwassenen bij wie gedurende de verminderde dosering of onderbreking van therapie een verslechtering of een complicatie optreedt, moeten behandeld worden met de oorspronkelijke dosering van Cerezyme. Indien dit niet mogelijk is moet alternatieve behandeling worden overwogen.

Bijwerkingen van Cerezyme 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 Cerezyme. De aanbevelingen zijn slechts van kracht zolang de voorraad niet toereikend is.

De Allston Landing productie faciliteit is inmiddels gereinigd en weer volledig operationeel. Alle bioreactoren zijn weer volledig in gebruik genomen en functioneren goed. Het nieuw geproduceerde Cerezyme zal aan het einde van 2009 beschikbaar komen voor distributie. Naar verwachting kan gedurende het eerste kwartaal van 2010 de oorspronkelijke dosering hervat worden.

Voor meer informatie kunt u contact opnemen met Jaap de Boer, Medische Directeur Genzyme Nederland.

Met vriendelijke groet,



Jaap de Boer
Medisch Directeur
Genzyme Nederland
Tel 035 699 7791 / 0620874983
jaap.deboer@genzyme.com