

Domande e risposte sulle raccomandazioni aggiornate per il trattamento con il Fabrazyme

L'Agenzia Europea dei Medicinali è stata informata da Genzyme che le scorte del medicinale Fabrazyme è più grave di quanto precedentemente previsto. A causa di ciò l'Agenzia ha aggiornato le raccomandazioni straordinarie per il trattamento pubblicate nel giugno 2009, che indicano quali pazienti debbano ricevere Fabrazyme in modo prioritario durante il periodo di carenza del medicinale, che si prevede continuerà sino alla fine del 2009. L'Agenzia ha ora raccomandato che devono ricevere un dosaggio di medicinale ridotto non solo le pazienti di sesso femminile, ma anche i pazienti di sesso maschile. I bambini e gli adolescenti devono continuare a ricevere Fabrazyme a dosaggio pieno, come precedentemente raccomandato.

Che cos'è Fabrazyme?

Fabrazyme è usato nella malattia di Fabry, una patologia ereditaria rara, talvolta pericolosa per la vita del paziente, nella quale i pazienti non hanno sufficienti quantità dell'enzima chiamato alfa-galattosidasi A. Questo enzima è coinvolto nel catabolismo delle sostanze grasse presenti nell'organismo. Fabrazyme contiene alfasidasi beta, che è un analogo dell'enzima naturale.

L'analogo dell'enzima naturale è prodotto mediante tecniche di DNA ricombinante: tali enzimi sono ottenuti da cellule che hanno ricevuto geni (DNA) che le rendono in grado di sintetizzare l'enzima.

Le cellule sono coltivate in speciali recipienti detti "bioreattori" con un processo di oltre tre-quattro mesi, e l'enzima è estratto dalla coltura ad intervalli regolari durante il processo.

Fabrazyme è stato autorizzato nell'Unione Europea nell'agosto 2001, ed è commercializzato in tutti gli Stati Membri.

Qual è il problema con Fabrazyme?

La carenza di Fabrazyme è derivata da un problema di contaminazione avvenuto nel sito di produzione di Alloston Landing, negli Stati Uniti di America, dove è prodotto il principio attivo di Fabrazyme.

Nel giugno 2009 Genzyme, la compagnia che produce il Fabrazyme, ha interrotto la produzione di nuovi lotti di Fabrazyme per un lungo periodo di tempo. Come risultato di questa carenza del medicinale, la compagnia, in accordo con l'Agenzia, raccomanda l'applicazione di modifiche straordinarie nella prescrizione e nell'uso di Fabrazyme.

Genzyme ha ora ripreso la produzione di Fabrazyme, ma la quantità prodotta del medicinale è risultata inferiore a quanto previsto, ovvero è circa il 30% del quantitativo di medicinale necessario per il periodo tra ottobre 2009 e la fine dell'anno. Pertanto, le raccomandazioni sull'uso di Fabrazyme fatte in giugno sono state ora aggiornate. Queste modifiche devono essere implementate immediatamente.

Quali sono le raccomandazioni durante il periodo di carenza dei medicinali?

- La priorità nel trattamento è data ai bambini e agli adolescenti, che devono continuare a ricevere il Fabrazyme come infusione ogni due settimane.
- I pazienti adulti di sesso maschile e femminile possono essere trattati con Fabrazyme ad un dosaggio ridotto di 0.3 mg per chilogrammo di peso corporeo ogni due settimane.

È di fondamentale importanza che tutti i pazienti adulti siano mantenuti sotto un'attenta sorveglianza clinica mentre sono in trattamento col dosaggio ridotto di Fabrazyme. I medici devono eseguire un

esame obiettivo completo ogni due mesi, per essere sicuri che la malattia non stia peggiorando. Se ciò accade, la dose dovrà essere restaurata al dosaggio completo di 1 mg/kg.

La segnalazione degli effetti collaterali continuerà come di norma, ed è richiesto ai medici di registrare il numero del lotto utilizzato nella scheda di ciascun paziente. Queste raccomandazioni straordinarie sono temporanee e non modificano l'attuale ed approvato Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto del prodotto.

Queste modifiche resteranno in vigore sino alla fine del 2009, quando si prevede che la carenza sarà risolta.

Quali sono le raccomandazioni per i prescrittori?

- I medici che hanno in trattamento pazienti con malattia di Fabry devono essere a conoscenza di questa carenza, e devono prendere in considerazione quali pazienti debbano essere trattati con un dosaggio ridotto del medicinale.

Quali sono le raccomandazioni per i pazienti?

- Non vi sono conseguenze particolari per i pazienti con malattia di Fabry di età inferiore ai 18 anni.
- I pazienti adulti con malattia di Fabry devono contattare il proprio medico curante per discutere le opzioni di trattamento. Mentre è in atto la carenza di Fabrazyme, essi possono essere trattati alla stessa frequenza di trattamento (ogni due mesi) ma con un dosaggio ridotto.
- I pazienti che hanno domande da fare in merito a questa problematica devono contattare il loro medico curante o il farmacista.

Che cosa succederà dopo?

Genzyme sta procedendo alla distribuzione di comunicazioni specifiche a tutti i prescrittori di Fabrazyme su come selezionare i pazienti per la riduzione del dosaggio, in accordo con le nuove raccomandazioni.

Genzyme ha informato l'Agenzia che non sono necessarie modifiche alle raccomandazioni stabilite a giugno per Fabrazyme.

Genzyme ha inoltre informato l'EMA che queste misure di restrizione delle forniture non avranno alcun impatto sugli approvvigionamenti dei medicinali per gli studi sperimentali in corso.

Che cosa succederà con Cerezyme?

È ancora in atto la carenza di Cerezyme, un altro medicinale prodotto da Genzyme nello stesso sito di produzione. Le raccomandazioni pubblicate nell'agosto 2009 per Cerezyme rimangono invariate, e prevedono che solamente i pazienti che hanno la maggior necessità di trattamento debbano ricevere il Cerezyme ma ad un dosaggio ridotto.

L'Agenzia Europea dei Medicinali disporrà nuove comunicazioni se dovessero essere disponibili nuove informazioni su questa problematica.