

NOTA INFORMATIVA IMPORTANTE CONCORDATA CON LE AUTORITA' REGOLATORIE EUROPEE E L'AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO (AIFA)

Settembre 2009

Comunicazione diretta agli operatori sanitari sulla revisione delle raccomandazioni straordinarie per il trattamento con Fabrazyme® (alglucosidasi beta) in seguito alla ulteriore riduzione della disponibilità del medicinale

Gentile Operatrice Sanitaria, Egregio Operatore Sanitario,

nel giugno 2009 Genzyme ha comunicato che la produzione di Fabrazyme era stata temporaneamente sospesa e che di conseguenza si sarebbe dovuto affrontare un periodo di ridotta disponibilità del farmaco. Quale misura per assicurare che i pazienti con progressione della malattia attiva continuassero a ricevere il farmaco, era stato raccomandato agli Operatori Sanitari di ridurre la dose somministrata alle pazienti adulte di sesso femminile.

Genzyme desidera ora informarLa che abbiamo constatato che le scorte di Fabrazyme risulteranno inferiori alle attese dopo il riavvio del processo produttivo presso il nostro impianto di Allston. Attualmente risulta disponibile Fabrazyme in quantità sufficiente a coprire solo il 30% della domanda globale per il periodo compreso tra il 1 ottobre 2009 e la fine del 2009. Questa ridotta disponibilità dovrebbe essere risolta entro la fine del 2009; nel frattempo sono necessarie ulteriori restrizioni alle raccomandazioni per il trattamento indicate precedentemente. Pertanto vi è l'urgente necessità di sottoporre a revisione le raccomandazioni sulla riduzione della dose per includere anche i pazienti adulti di sesso maschile, fino a quando le scorte non saranno tornate a livelli normali.

Lo schema di trattamento utilizzato più frequentemente per Fabrazyme prevede un'infusione (1 mg/kg di peso corporeo) ogni due settimane. Durante il periodo di carenza, le raccomandazioni aggiornate per il trattamento concordate con l'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) sono le seguenti:

- Bambini e adolescenti (<18 anni) devono ricevere Fabrazyme secondo le dosi e la frequenza raccomandate.
- I pazienti adulti di sesso maschile e le pazienti adulte di sesso femminile già trattati/stabilizzati possono ricevere Fabrazyme con un aggiustamento della dose a 0,3 mg/kg ogni due settimane quale dose di mantenimento.
- I pazienti trattati con un regime posologico così aggiustato devono essere mantenuti sotto un'attenta sorveglianza clinica. Devono inoltre essere sottoposti ogni due mesi ad un esame obiettivo completo, comprensivo della registrazione di tutti i parametri clinici rilevanti. E' di fondamentale importanza la valutazione dei livelli plasmatici o urinari di GL-3, poiché i livelli di GL-3 sono al momento la variabile più sensibile. Nei pazienti in cui si evidenzia un peggioramento dello stato di malattia dovrà essere reintrodotta il trattamento iniziale con Fabrazyme.

Questa raccomandazione si basa su risultati dello studio sulla dose di mantenimento nel quale Fabrazyme era stato somministrato ai pazienti con malattia di Fabry inizialmente (per 6 mesi) alla dose di 1,0 mg/kg ogni due settimane, riducendo successivamente la dose a 0,3 mg/kg ogni due settimane per 18 mesi. In questo studio di mantenimento, dopo il trattamento iniziale con 1,0 mg/kg ogni due settimane per 6 mesi, la dose di 0,3 mg/kg

ogni due settimane sembrava indicare il mantenimento della clearance di GL-3 in alcuni tipi cellulari di alcuni pazienti; tuttavia la rilevanza clinica a lungo termine di queste osservazioni non è stata ancora stabilita.

Gli eventi avversi a Fabrazyme devono essere riportati secondo le modalità correnti e si ricorda ai medici di registrare il numero di lotto utilizzato nella cartella del paziente.

Queste sono raccomandazioni straordinarie e non modificano l'attuale ed approvato Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto di Fabrazyme. Le raccomandazioni si applicheranno solo fino al momento in cui i problemi di disponibilità del farmaco saranno risolti.