

L'Agenzia Europea dei Medicinali ha rivisto le raccomandazioni per il trattamento con Fabrazyme

Il Comitato Scientifico per i Medicinali per Uso Umano dell'Agenzia Europea dei medicinali (CHMP) ha rivisto le sue precedenti raccomandazioni sull'utilizzo di Fabrazyme (agalsidasi beta) durante la carenza di scorte in corso.

Questa revisione è stata avviata in seguito ad un incremento degli eventi avversi in pazienti trattati con la dose più bassa di Fabrazyme, assunta durante la carenza di scorte.

Fabrazyme è utilizzato per trattare la malattia di Fabry una malattia ereditaria rara caratterizzata da deficit di α -galattosidasi A.

Le raccomandazioni per il trattamento provvisorie per gestire i pazienti trattati con questo medicinale sono in vigore dall'inizio della carenza delle scorte e sono state regolarmente aggiornate.

Attualmente Il CHMP raccomanda che i medici ricomincino a prescrivere l'intera dose di Fabrazyme in base alle informazioni del prodotto autorizzate, a seconda della disponibilità della terapia enzimatica sostitutiva e della gravità della malattia.

Nel diffondere le raccomandazioni, il Comitato ha considerato l'esito del consenso di un gruppo di esperti nella malattia di Fabry.

Il gruppo si è riunito due volte, nell'ottobre 2010, e ha compreso medici con esperienza nella malattia di Fabry e rappresentanti dei pazienti che lavorano insieme per definire la priorità dei pazienti con malattia di Fabry durante la carenza di scorte in corso.

Il Comitato ha anche esaminato le segnalazioni spontanee di reazioni avverse e i dati presenti nel Registro istituito per la malattia di Fabry.

Il CHMP ha osservato che, dall'introduzione di una dose più bassa di Fabrazyme nel giugno del 2009, si è verificato un aumento costante del numero di eventi avversi riportati associati ad un aumento del numero dei pazienti trattati con la dose più bassa.

In un primo momento, la maggior parte degli eventi sono stati collegati al dolore, seguiti successivamente da segnalazioni di eventi che colpiscono il cuore, il sistema nervoso centrale e i reni. Questo quadro clinico suggerisce una progressione della malattia di Fabry.

Recentemente, è stata osservata una diminuzione del numero di eventi avversi riportati, che riflette il fatto che più pazienti sono passati al trattamento con Replagal o hanno cominciato di nuovo a ricevere una dose piena di Fabrazyme.

Nonostante questo, il Comitato ha osservato che un sottogruppo di pazienti sembra poter essere gestibile con la dose più bassa di Fabrazyme.

Il CHMP ha inoltre osservato che il monitoraggio dei livelli di GL-3 nel plasma o nelle urine non sembra rappresentare un valore aggiunto per la gestione clinica dei pazienti, che ricevono una dose più bassa del medicinale.

La versione aggiornata di raccomandazioni per il trattamento temporaneo con Fabrazyme del CHMP è riportata di seguito

- ai pazienti che richiedono una terapia enzimatica sostitutiva per la malattia di Fabry deve essere prescritta la dose autorizzata di Fabrazyme (1 mg / kg una volta ogni due settimane) o Replagal (0,2 mg / kg una volta ogni due settimane);
- bassi dosaggi di Fabrazyme devono essere limitati a quei pazienti che sono stabili e preferiscono essere trattati con tale dosaggio;
- si devono avvertire i pazienti e i prescrittori sulla possibilità di osservare un peggioramento della condizione clinica nei pazienti trattati con un dosaggio più basso. Il dolore, sintomi cardiaci e sordità sono le manifestazioni usuali di progressione della malattia di Fabry.

Le raccomandazioni non modificano le informazioni del medicinale, attualmente autorizzate per Fabrazyme.

La carenza di scorte di Fabrazyme è iniziata nel giugno 2009 ed è stata causata da una serie di problemi di produzione presso il sito produttivo di Allston Landing, negli Stati Uniti d'America.

Poichè l'attuale produttività ad Allston Landing è ancora inferiore al previsto, la fornitura di Fabrazyme non tornerà alla normalità prima del secondo semestre del 2011, secondo Genzyme.

Il CHMP resta preoccupato per la carenza di scorte dei medicinali di Genzyme e segue con attenzione l'attuazione delle loro misure di miglioramento per prevenire problemi simili di produzione e di qualità nel futuro.

L'EMA invierà ulteriori aggiornamenti se disponibili.

Note

1. Questo comunicato stampa con tutti i documenti pertinenti è disponibile sul sito web della Agenzia Europea dei Medicinali:

http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/news_and_events/news/2010/09/news_detail_001122.jsp&murl=menus/news_and_events/news_and_events.jsp&mid=WC0b01ac058004d5c1

2. Il rapporto di valutazione del CHMP sulla carenza di scorte di Fabrazyme tra giugno 2009 e settembre 2010 sarà pubblicato sul sito web dell'Agenzia Europea dei Medicinali.

3. Le raccomandazioni per il trattamento del gruppo di esperti nella malattia di Fabry sono in linea con le informazioni del prodotto attualmente autorizzate per Fabrazyme, e saranno pubblicate in una rivista scientifica peer-reviewed.

4. Le raccomandazioni precedenti per il trattamento con Fabrazyme del CHMP sono state diffuse il 6 luglio 2010, in seguito alla continua carenza di scorte.

5. Inizialmente, la carenza di scorte per Fabrazyme è stata causata dalla chiusura del sito produttivo Genzyme in Allston Landing, negli Stati Uniti d'America, per la sanificazione dei bioreattori a causa di una contaminazione virale.

6. Ulteriori informazioni su Fabrazyme, comprese le informazioni sui prodotti attualmente autorizzati, sono disponibili nel rapporto di valutazione pubblica europea (EPAR).

7. Maggiori informazioni sul lavoro dell'EMA possono essere reperibili sul sito :

www.ema.europa.eu