

Cerezyme 400 jednostek, proszek do przygotowania koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji

Skład jakościowy i ilościowy: Każda fiolka zawiera 400 jednostek* imiglucerazy**. Po rozpuszczeniu 1 ml roztworu zawiera 40 jednostek (ok. 1 mg) imiglucerazy (400 j./10 ml). Przed użyciem każda fiolka wymaga dalszego rozcieńczenia. * Jednostka aktywności enzymu (j.) jest definiowana jako ilość enzymu, która katalizuje hydrolizę 1 μmol syntetycznego substratu para-nitrofenylo-β-D-glukopiranozydu (pNP-Glc) na minutę w temperaturze 37°C.** Imigluceraza to zmodyfikowana postać ludzkiej kwaśnej β-glukozydazy wytwarzanej technologią rekombinacji DNA w hodowli komórek jajnika chomika chińskiego (ang. CHO, *Chinese Hamster Ovary*), z modyfikacją mannozy zapewniającej powinowactwo do makrofagów. Substancje pomocnicze o znanym działaniu: Każda fiolka zawiera 41 mg sodu. **Postać farmaceutyczna:** proszek do przygotowania koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji. Cerezyme jest białym lub białawym proszkiem. **Wskazania do stosowania:** Produkt leczniczy Cerezyme (imigluceraza) jest wskazany do stosowania w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) lub typu 3 (z przewlekłą neuropatią), u których występują klinicznie znaczące objawy tej choroby, niezwiązane z układem nerwowym. Objawy choroby Gauchera niezwiązane z układem nerwowym obejmują jeden lub więcej spośród wymienionych stanów: niedokrwistość, po wykluczeniu innych przyczyn, takich jak niedobór żelaza, małopłytkowość, choroba kości, po wykluczeniu innych przyczyn, takich jak niedobór witaminy D, powiększenie wątroby lub śledziona. **Dawkowanie i sposób podawania:** Leczenie powinno być prowadzone przez lekarza posiadającego doświadczenie w leczeniu choroby Gauchera. Dawkowanie: Z uwagi na heterogeniczny i wieloukładowy charakter choroby Gauchera, dawkowanie należy dobrać indywidualnie dla każdego pacjenta na podstawie kompleksowej oceny wszystkich objawów klinicznych choroby. Po uzyskaniu wyraźnej indywidualnej odpowiedzi na leczenie obejmującej wszystkie istotne objawy kliniczne, dawkę i częstość podawania można zmodyfikować, aby zapewnić utrzymanie osiągniętych optymalnych parametrów objawów klinicznych lub uzyskać dalszą poprawę tych parametrów, które są nadal nieprawidłowe. Została potwierdzona skuteczność pełnego zakresu schematów dawkowania wobec niektórych lub wszystkich objawów choroby, niezwiązanych z układem nerwowym. Początkowe dawki 60 j./kg mc. raz na 2 tygodnie przyniosły poprawę parametrów hematologicznych i narządowych w ciągu 6 miesięcy leczenia, a dalsze stosowanie doprowadziło albo do zatrzymania progresji, albo do poprawy zmian kostnych. Wykazano, że podawanie leku w dawkach zaledwie 15 j./kg mc. raz na dwa tygodnie powodowało poprawę parametrów hematologicznych i ustępowanie powiększenia narządów wewnętrznych, lecz nie doprowadziło do poprawy parametrów zmian kostnych. Infuzje podaje się zazwyczaj z częstością raz na 2 tygodnie; dla takiej częstości podawania dostępnych jest najwięcej danych. Dzieci i młodzież: Nie ma potrzeby dostosowywania dawki leku u dzieci i młodzieży. Nie ustalono skuteczności produktu leczniczego Cerezyme w leczeniu objawów neurologicznych u pacjentów z chorobą Gauchera z przewlekłą neuropatią i nie można zalecić żadnego specjalnego schematu dawkowania w przypadku takich objawów klinicznych. Sposób podawania: Po rozpuszczeniu i rozcieńczeniu produkt leczniczy podaje się w infuzji dożylniej. Podczas pierwszych infuzji produktu leczniczego Cerezyme szybkość infuzji nie powinna być większa niż 0,5 j./kg mc./min. Podczas kolejnych podań leku szybkość infuzji można zwiększyć maksymalnie do 1 j./kg mc./min. Zwiększanie szybkości infuzji powinien nadzorować lekarz. Infuzję domową produktu leczniczego Cerezyme można rozważyć w przypadku pacjentów, którzy dobrze tolerują infuzje przez kilka miesięcy. Decyzję o przejściu pacjenta na infuzję domową należy podjąć po ocenie i zaleceniach lekarza prowadzącego. Infuzje produktu leczniczego Cerezyme wykonywane przez pacjenta lub opiekuna wymagają przeszkolenia przez pracownika ochrony zdrowia w warunkach klinicznych. Pacjent lub opiekun zostaną poinstruowani w zakresie technik infuzji i prowadzenia dzienniczka leczenia. Pacjenci, u których podczas infuzji występują działania niepożądane powinni natychmiast **przerwać infuzję** i zgłosić się po pomoc do pracowników ochrony zdrowia. Konieczne może być wykonywanie kolejnych infuzji w warunkach klinicznych. Dawka i szybkość infuzji w warunkach domowych powinny pozostawać stałe i nie zmieniane bez nadzoru pracowników ochrony zdrowia. Zachęca się lekarzy i pracowników ochrony zdrowia do zgłaszania pacjentów z chorobą Gauchera do „Rejestru ICGG choroby Gauchera”, włącznie z pacjentami z przewlekłymi objawami neuropatycznymi. **Przeciwwskazania:** Nadwrażliwość na substancję czynną lub na którąkolwiek substancję pomocniczą. **Specjalne ostrzeżenia i środki ostrożności dotyczące stosowania:** Nadwrażliwość: Aktualne dane uzyskane na podstawie testów przesiewowych ELISA, dodatkowo potwierdzane metodą radioimmunoprecypitacji wskazują, że

podczas pierwszego roku leczenia przeciwciała klasy IgG skierowane przeciwko imiglucerazie tworzą się u około 15% leczonych pacjentów. Wydaje się, że jeśli u pacjentów mają się wytworzyć przeciwciała IgG, to zwykle tworzą się one w czasie pierwszych 6 miesięcy leczenia, natomiast tworzenie się przeciwciał przeciwko produktowi leczniczemu Cerezyme po 12 miesiącach leczenia zdarza się rzadko. Zaleca się, aby pacjenci, u których podejrzewa się zmniejszoną reakcję na leczenie byli okresowo monitorowani w celu wykrycia przeciwciał klasy IgG skierowanych przeciwko imiglucerazie. Pacjenci z przeciwciałami przeciw imiglucerazie są w większym stopniu zagrożeni wystąpieniem reakcji nadwrażliwości. Jeżeli u pacjenta stwierdza się reakcje wskazujące na nadwrażliwość, zaleca się przeprowadzenie dodatkowych badań przeciwciał przeciwko imiglucerazie. Podobnie jak w przypadku innych leków zawierających białko, podawanych dożylnie, możliwe jest wystąpienie (jednak niezbyt często) poważnych reakcji nadwrażliwości typu alergicznego. Jeśli takie reakcje wystąpią, zaleca się natychmiastowe przerwanie infuzji produktu leczniczego Cerezyme i podanie odpowiednich leków. Należy przestrzegać aktualnych standardów leczenia doraźnego. Pacjenci, u których powstały przeciwciała lub objawy nadwrażliwości na produkt leczniczy Ceredase (alglucerażę), powinni być leczeni z zachowaniem ostrożności przy podawaniu produktu leczniczego Cerezyme (imigluceraży).

Reakcje związane z infuzją (ang. *Infusion-Associated Reactions, IARs*): U pacjentów leczonych imiglucerażą obserwowano reakcje związane z infuzją (IARs), takie jak obrzęk naczynioruchowy, świąd, wysypka, pokrzywka, dyskomfort w klatce piersiowej, dreszcze, zmęczenie, pieczenie w miejscu infuzji, dyskomfort w miejscu infuzji, obrzęk w miejscu infuzji, gorączka oraz przemijające nadciśnienie tętnicze. Należy dokładnie ocenić stan kliniczny pacjenta przed podaniem produktu leczniczego Cerezyme. W celu zapobiegania lub zmniejszenia reakcji związanych z infuzją można podać leki przeciwhistaminowe, przeciwgorączkowe i (lub) kortykosteroidy. Jednak, reakcje związane z infuzją mogą nadal wystąpić u pacjentów pomimo zastosowania leczenia wstępnego. Jeżeli wystąpią łagodne lub umiarkowane reakcje związane z infuzją, pomimo zastosowania leczenia wstępnego, zmniejszenie szybkości infuzji lub jej tymczasowe zatrzymanie może złagodzić objawy. Jeżeli wystąpią ciężkie reakcje związane z infuzją, należy rozważyć natychmiastowe przerwanie podawania produktu leczniczego Cerezyme oraz wdrożyć odpowiednie leczenie. Należy rozważyć korzyści i ryzyko związane z ponownym podaniem produktu leczniczego Cerezyme po wystąpieniu ciężkich reakcji związanych z infuzją.

Sód: Produkt leczniczy zawiera 41 mg sodu na fiolkę, co odpowiada 2% zalecanej przez WHO maksymalnej 2 g dobowej dawki sodu u osób dorosłych. Podawany jest w 0,9% roztworze chlorku sodu do infuzji. Powinni to uwzględnić pacjenci stosujący dietę z kontrolowaną zawartością sodu.

Identyfikowalność: W celu poprawienia identyfikowalności biologicznych produktów leczniczych należy czytelnie zapisać nazwę i numer serii podawanego produktu.

Działania niepożądane wymieniono według częstości występowania (często ($\geq 1/100$ do $< 1/10$), niezbyt często ($\geq 1/1000$ do $< 1/100$) i rzadko ($\geq 1/10\ 000$ do $< 1/1\ 000$)). W każdej grupie częstość występowania działań niepożądanych przedstawiono w kolejności zmniejszającego się nasilenia. *Często:* duszność, kaszel, reakcje nadwrażliwości, pokrzywka, obrzęk naczynioruchowy, świąd, wysypka. *Niezbyt często:* zawroty głowy, ból głowy, parestezje, częstoskurcz, sinica, zaczerwienienie, niedociśnienie, wymioty, nudności, spastyczne bóle brzucha, biegunka, ból stawów, ból pleców, dyskomfort w miejscu infuzji, pieczenie w miejscu infuzji, obrzęk w miejscu infuzji, jałowy ropień w miejscu infuzji, dyskomfort w klatce piersiowej, gorączka, dreszcze, zmęczenie. *Rzadko:* reakcje anafilaktyczne. *Częstość nieznana:* przemijające nadciśnienie tętnicze. Opis wybranych działań niepożądanych: **Reakcje nadwrażliwości (w tym reakcje anafilaktyczne):** Objawy świadczące o reakcji nadwrażliwości odnotowano ogółem u około 3% pacjentów. Początek występowania objawów, takich jak parestezje, częstoskurcz, sinica, zaczerwienienie, niedociśnienie, duszność, kaszel, pokrzywka, obrzęk naczynioruchowy, świąd, wysypka, ból pleców oraz dyskomfort w klatce piersiowej obserwowano podczas lub wkrótce po infuzji. **Reakcje związane z infuzją:** U pacjentów leczonych imiglucerażą obserwowano reakcje związane z infuzją (IARs), takie jak obrzęk naczynioruchowy, świąd, wysypka, pokrzywka, dyskomfort w klatce piersiowej, dreszcze, zmęczenie, pieczenie w miejscu infuzji, dyskomfort w miejscu infuzji, obrzęk w miejscu infuzji, gorączka oraz przemijające nadciśnienie tętnicze. **Zgłaszanie podejrzewanych działań niepożądanych:** Po dopuszczeniu produktu leczniczego do obrotu istotne jest zgłaszanie podejrzewanych działań niepożądanych. Umożliwia to nieprzerwane monitorowanie stosunku korzyści do ryzyka stosowania produktu leczniczego. Osoby należące do fachowego personelu medycznego powinny zgłaszać wszelkie podejrzewane działania niepożądane za pośrednictwem Departamentu Monitorowania Niepożądanych Działań Produktów Leczniczych Urzędu Rejestracji Produktów

Lecznicych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych: Al. Jerozolimskie 181 C, 02-222 Warszawa, Tel.: + 48 22 49 21 301, Faks: + 48 22 49 21 309, Strona internetowa: <https://smz.ezdrowie.gov.pl>

Opracowano na podstawie Charakterystyki Produktu Leczniczego z datą 10/2025.

Rpz – produkt leczniczy wydawany na receptę do zastrzeżonego stosowania.

Podmiot odpowiedzialny: Sanofi B.V., Paasheuvelweg 25, 1105 BP Amsterdam, Holandia

Pozwolenie na dopuszczenie do obrotu wydane przez Komisję Wspólnot Europejskich nr: EU/1/97/053/003-005. Informacji w Polsce udziela: Sanofi Sp. z o.o., ul. Marcina Kasprzaka 6, 01-211 Warszawa, tel. (22) 2800000.