

Warszawa, 27. 09. 2012

Ministerstwo Zdrowia

Departament

Polityki Lekowej i Farmacji

MZ-PLA-460-12499-427/LP/12

BIURO RZECZNIKA PRAW PACJENTA	
Wpłynęło:	2012 -10- 0 2
Znak:	

Pani**Marzanna Bieńkowska****Kierownik Zespołu****Interwencyjno – Poradniczego****Biuro Rzecznika Praw Pacjenta**

Szanowna Pani,

W odpowiedzi na pismo znak: RzPP-ZIP-430-56-3/DŁ/12 z dnia 17 września 2012 r. Departament Polityki Lekowej i Farmacji uprzejmie informuje, iż warunki leczenia enzymatycznego chorób lizosomalnych w ramach programów lekowych uzależnione są od zapisów Charakterystyk Produktów Leczniczych, które określają tryb podawania leku oraz bezpieczeństwo jego podania. Zgodnie z CHPL:

- produkt leczniczy **Myozyme (*alglucosidase alfa*)** – stosowany w leczeniu choroby Pompego Pkt. 4.4. Specjalne ostrzeżenia i środki ostrożności dotyczące stosowania

Ze względu na możliwość wystąpienia ciężkich reakcji związanych z infuzją podczas podawania produktu leczniczego Myozyme należy zapewnić dostępność odpowiednich leczniczych środków zapobiegawczych, włącznie ze sprzętem do resuscytacji krążeniowo oddechowej. Jeżeli wystąpi ciężka nadwrażliwość lub reakcje anafilaktyczne, należy rozważyć natychmiastowe przerwanie infuzji produktu leczniczego Myozyme i rozpocząć odpowiednie leczenie. Należy przestrzegać aktualnych standardów medycznych obowiązujących w leczeniu nagłych reakcji anafilaktycznych. W badaniach klinicznych wczesnej postaci choroby u około połowy pacjentów leczonych produktem leczniczym Myozyme wystąpiły reakcje związane z infuzją (ang. Infusion-Associated Reactions – IAR), natomiast w badaniach klinicznych

późnej postaci choroby u 28% pacjentów. IAR są definiowane jako jakiekolwiek reakcje niepożądane, które występują podczas infuzji lub w ciągu najbliższych godzin po jej zakończeniu. Niektóre reakcje były ciężkie (patrz punkt 4.8). U pacjentów z wczesną postacią choroby, leczonych większą dawką (40 mg/kg mc.), stwierdzono tendencję do zwiększania się ilości objawów towarzyszących reakcjom związanym z infuzją. Wydaje się, że ryzyko pojawienia się reakcji związanych z infuzją jest większe u pacjentów z rozpoznaniem postaci niemowlęcej, u których występuje wzrost miana przeciwciał IgG. Większe ryzyko wystąpienia reakcji związanych z infuzją obserwowano u pacjentów, którzy podczas infuzji produktu leczniczego Myozyme byli chorzy na ostrą chorobę (np. zapalenie płuc, posocznicę). Przed podaniem produktu leczniczego Myozyme należy starannie ocenić stan kliniczny pacjenta. Należy ściśle monitorować stan pacjentów i zgłaszać podmiotowi odpowiedzialnemu posiadającemu pozwolenie na dopuszczenie do obrotu wszystkie przypadki reakcji związanych z infuzją, reakcji opóźnionych i możliwych reakcji immunologicznych. Należy zachować ostrożność podczas ponownego podawania produktu leczniczego Myozyme pacjentom, u których wystąpiły reakcje związane z infuzją (a w szczególności reakcja anafilaktyczna) (patrz punkty 4.3 i 4.8). W przypadku wystąpienia reakcji łagodnych i przemijających pomoc lekarska i przerwanie infuzji mogą nie być konieczne. Większość reakcji związanych z infuzją skutecznie leczono zmniejszając szybkości infuzji, chwilowo ją przerywając lub podając przed jej rozpoczęciem 4 doustne leki przeciwhistaminowe i (lub) przeciwgorączkowe i (lub) kortykosteroidy. Reakcje związane z infuzją mogą wystąpić w każdej chwili podczas podawania produktu leczniczego Myozyme, zwykle do 2 godzin po podaniu. Ich wystąpienie jest bardziej prawdopodobne przy większych szybkościach infuzji. U pacjentów z zaawansowaną chorobą Pompego mogą wystąpić zaburzenia czynności serca i układu oddechowego, co może stwarzać większe ryzyko ciężkich powikłań wynikających z reakcji związanych z infuzją. Z tego względu podczas podawania produktu leczniczego Myozyme należy dokładniej monitorować stan takich pacjentów.

- produkt leczniczy **Naglazyme (galsulfase)** - leczenie Mukopolisacharydozy typ VI - Zespół Maroteaux - Lamy

4.2. Dawkowanie i sposób podawania

Naglazyme należy podawać w odpowiednich warunkach klinicznych, z natychmiastowym dostępem do wyposażenia resuscytacyjnego niezbędnego do leczenia nagłych stanów zagrożenia życia.

- produkt leczniczy **Elaprase (idursulfase)** - leczenie Mukopolisacharydozy typ II - Zespół Huntera

4.2. Dawkowanie i sposób podawania

Podawanie produktu leczniczego Elaprase powinno być nadzorowane przez lekarza lub innego pracownika służby zdrowia posiadającego doświadczenie w leczeniu pacjentów z MPS II lub innymi dziedzicznymi zaburzeniami metabolizmu. Podawanie pacjentowi infuzji leku Elaprase w domu może być brane pod uwagę u pacjentów, którzy przez okres kilku miesięcy otrzymywali leczenie w klinice i dobrze je tolerowali. Infuzje w domu należy podawać pod nadzorem lekarza lub innego pracownika służby zdrowia.

- produkt leczniczy **Aldurazyme (Iaronidase)** – leczenie choroby Hurler’a

4.2. Dawkowanie i sposób podawania

Aldurazyme należy podawać w odpowiednich warunkach klinicznych, z natychmiastowym dostępem do wyposażenia resuscytacyjnego potrzebnego do leczenia nagłych stanów zagrożenia życia.

- produkt leczniczy **Cerezyme (imiglucerase)**- leczenie choroby Gaucher’a

4.2. Dawkowanie i sposób podawania

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.

Z uwagi na w/w zapisy Charakterystyk Produktów Leczniczych jedynymi produktami, których profil bezpieczeństwa zezwala na podanie w warunkach domowych mogą być produkty: Elaprase – stosowany w leczeniu Zespołu Huntera i Cerezyme – stosowany

w leczeniu choroby Gaucher'a. Jak jednak zaznaczono w CHPL przedmiotowych leków, rozpoczęcie domowej terapii nie może stać w oderwaniu do zapewnienia prawidłowych, sterylnych warunków do infuzji oraz profesjonalnego przeszkolenia osób podających produkty lecznicze.

Departament pragnie zaznaczyć, iż obecne zapisy w/w programów lekowych są tożsame z terapeutycznymi programami zdrowotnymi, których autorem byli Konsultanci Krajowi w dziedzinach medycyny. Zapisy te zostały ocenione przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i są racjonalnym rozwiązaniem, uwzględniającym organizację ochrony zdrowia oraz możliwości płatnicze Narodowego Funduszu Zdrowia, przy jednoczesnym zapewnieniu pacjentom dostępu do nowoczesnych i kosztownych technologii lekowych.

Z poważaniem

