



# MEDLEMSBREV

Morbus Gaucher - föreningen  
www.morbusgaucher.se  
Akvilejagången 29, 507 52 Borås  
augusti 2009



## Kära medlemmar!

Det lilla orosmolnet jag berättade om i början av sommaren har tyvärr utvecklats sig till ett ruskigt oväder. Problemen med tillverkningen av Cerezyme var mycket större än någon kunde ana. Efter att ha fungerat fantastiskt bra i över femton år, både medicinskt och med god tillgänglighet, står vi nu inför situationen att många av oss patienter inte har möjlighet att fortsätta med enzymterapi det närmaste halvåret eller i värsta fall ännu längre tidsperiod.

Problemen beror på att tillverkningsprocessen infekterades av ett virus (ett calicivirus av typen Vesivirus 2117). Detta virus är inte känt för att smitta människor, däremot stör det celltillväxten och därmed kvantiteten men inte kvaliteten av enzymet som cellerna producerar.

Om det allra värsta inträffar och det lager som nu finns inte kan användas står vi helt utan enzym i mitten av september. Låt oss hålla alla tummar för att detta inte händer. Blir detta lager godkänt räknar man med att 20 % av den normala åtgången kan distribueras. Som alla säkert förstår räcker detta inte till alla, utan de mest angelägna patienterna måste prioriteras.

Jag citerar ur Genzymes behandlingsrekommendationer (kan ändras med kort varsel):

\*Om det är medicinskt möjligt ska spädbarn, barn och ungdomar ges Cerezyme med reducerad dos eller med längre intervall, eftersom dessa patienter med tidig sjukdomsdebut har snabbast sjukdomsprogression och löper risk att få allvarliga och långvariga problem. Ingen av dessa patienter ska behandlas med lägre dos än 15 enheter/kg **varannan vecka**. I annat fall ska alternativ behandling övervägas.

\*Vuxna patienter med allvarlig, livshotande sjukdomsprogression ( t.ex. symtomgivande pulmonell hypertension, svår trombocytopeni eller svår anemi ) bör ges Cerezyme med reducerad dos eller med längre intervall. Ingen av dessa patienter ska behandlas med lägre dos än 15 enheter/kg **var 4:de vecka**. I annat fall ska alternativ behandling övervägas.

\*För vuxna patienter utan allvarlig, livshotande sjukdomsprogression bör alternativ behandling övervägas eller behandlingen avbrytas.

\*Alla patienter ska övervakas efter behov med avseende på förändringar av hemoglobin-, trombocyt- och chitotriosidas-nivåer, vid behandlingsstarten och därefter varannan månad. Vuxna som uppvisar progression till allvarlig, livshotande sjukdom ska återgå till ursprunglig behandling med Cerezyme.

Kommentar:

Dessa rekommendationer bygger helt på EMEA:s (socialstyrelsens europeiska motsvarighet) råd. Jag bifogar dessa.

Noteras bör att patienterna inte delas in i Typ I, II eller III, utan efter ålder och tillstånd.

Den alternativa behandlingen som nämns ovan är miglustat, alltså Zavesca. Enligt Torbjörn Ritzler på Actelion är tillgången till detta läkemedel god även vid en ökad efterfrågan.

Två nya enzympreparat från Shire och Protalix knackar på dörren. Det verkar som om de redan är godkända i USA. Tyvärr tar det väl längre tid än ett halvår att få hit dem.

Genzyme jobbar också hårt på att få fram sin substratreduktion. Inom en månad ska vi få besked om det är möjligt att detta kan ersätta enzymet under den här perioden.

Det sägs att krisen ska vara över vid årets slut, men några garantier kan givetvis inte ges. Därför vill jag slutligen uppmana dig som är patient eller anhörig till patient att ta kontakt med behandlande doktor så fort som möjligt och diskutera om man ska överväga alternativ behandling.

Vi återkommer med medlemsbrev när saker och ting kommer på plats. Besök gärna vår hemsida där vi ska försöka meddela senaste nytt.

**Njut av eftersommaren!**

**Er**

**Lars Magnusson**