

26 april 2010

**Meddelande till sjukvårdspersonal om tillgången på Fabrazyme® (agalsidas beta)  
Fortsatt begränsad tillgång samt behandlingsrekommendationer för patienter med klinisk försämring**

Bäste sjukvårdspersonal!

Efter det senaste meddelandet i februari 2010 om att tillgången på Fabrazyme skulle vara tillbaka på normala nivåer i slutet av juni 2010, vill Genzyme nu **informera om fortsatt begränsad tillgång på Fabrazyme samt ge uppdaterade behandlingsrekommendationer.**

- Genzyme har upptäckt en felaktighet i utrustningen i produktionsanläggningen i Allston. Detta får till följd att den begränsade tillgången på Fabrazyme på den europeiska marknaden kvarstår. **Genzyme kommer endast att ha tillräckligt med Fabrazyme för att täcka 30 % av den globala efterfrågan minst fram till i slutet av september 2010.**
- Genzyme ger härmed tillfälliga behandlingsrekommendationer för att garantera att patienter med Fabrys sjukdom får fortsatt adekvat behandling. **Behandlingsrekommendationerna från föregående meddelande till sjukvårdspersonal (september 2009) gäller fortfarande.**
- **Grundat på spontana biverkningsrapporter har man vid lägre doser observerat en ökning av kliniska manifestationer som tyder på progression av Fabrys sjukdom. Smärtor, hjärtpåverkan och dövhet är vanliga tecken på Fabrys sjukdom. Patienter som står på lägre dos ska stå under noggranna kontroller. Vid tecken på förvärrade sjukdomssymtom och/eller biverkningar som kan hänföras till den minskade Fabrazyme-dosen rekommenderas läkaren att återgå till den inledande doseringen eller påbörja behandling med ett alternativt, godkänt läkemedel.**
- Alla patienter, i synnerhet patienter med justerade doseringsregimer, ska stå under noggrann klinisk övervakning. En medicinsk undersökning, inklusive alla relevanta kliniska parametrar, ska utföras varannan månad. Det är av yttersta vikt att kontrollera nivåerna av GL-3 i plasma eller urin, eftersom GL-3-nivån i nuläget är den mest känsliga parametern.
- Alla allvarliga och/eller oväntade misstänkta biverkningar av Fabrazyme ska på vanligt sätt rapporteras till Läkemedelsverkets Regionala Biverkningscentra (blanketter och adresser hittas på [www.lakemedelsverket.se](http://www.lakemedelsverket.se) eller i FASS) och läkarna påminns om att anteckna batchnummer i patientjournalen.

Detta är tillfälliga rekommendationer och innebär ingen förändring av nu gällande godkänd produktinformation för Fabrazyme. Rekommendationerna är endast giltiga tills problemet med den begränsade tillgången har lösts.

Om du behöver ytterligare information går det bra att kontakta Genzyme lokalt via e-post (Anita Nyström, [anita.nystrom@genzyme.com](mailto:anita.nystrom@genzyme.com)) eller telefon (070-271 00 07).

Vänliga hälsningar



Carlo Incerti, MD.  
Head of R&D Europe

Bilaga: Behandlingsrekommendationer för Fabrazyme, september 2009



European Medicines Agency  
Press office

London, 25 September 2009  
Doc. Ref. EMEA/602583/2009

## PRESS RELEASE

### Supply shortage of Fabrazyme – updated treatment recommendations required for adult male patients

The European Medicines Agency has been informed by Genzyme, the marketing authorisation holder of Fabrazyme (agalsidase beta), that the supply shortage of the medicine is more severe than previously expected. The Agency's Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) has therefore agreed to new temporary treatment recommendations, saying that not only female but also male patients should receive a reduced dose of Fabrazyme. These recommendations revise the recommendations proposed by the company in June 2009.

The updated recommendations during the supply shortage are as follows:

- Children and adolescents (<18 years) should receive Fabrazyme according to the recommended dose and frequency.
- Adult male patients and adult female patients already treated/stabilised may receive Fabrazyme with an adjusted dose of 0.3 mg/kg as maintenance dose every two weeks.
- Patients with adjusted dose regimens should be under close clinical surveillance. A full medical examination, including all relevant clinical parameters, should be performed every two months. It is of the utmost importance to monitor the plasma GL-3 or urinary GL-3 levels, as for the moment the GL-3 level is the most sensitive parameter. Patients who demonstrate a deterioration of disease should reinitiate the original treatment with Fabrazyme.

These are temporary recommendations and do not change the currently approved Product Information for Fabrazyme. It is expected that these changes will need to continue until the end of the year.

Fabrazyme is used in the treatment of patients with Fabry disease, a rare, inherited enzyme-deficiency disorder in which patients do not have enough of an enzyme called alpha-galactosidase A. The deficiency in this enzyme causes certain fat molecules to accumulate in the body's tissues, particularly the heart, kidneys, eyes and nerve tissue.

The supply shortage is caused by the shutting down of Genzyme's production site for Cerezyme and Fabrazyme in Allston Landing, in the United States of America in June 2009, because viral contamination (calicivirus of the type Vesivirus 2117) required sanitisation of the bioreactors. Therefore, the CHMP issued temporary changes to the way Cerezyme and Fabrazyme are prescribed and used in June 2009 to ensure that patients could continue to have access to these medicines while Genzyme was solving the manufacturing issues.

In August 2009, the Agency had to update the temporary changes for Cerezyme following notification by the company that the existing stocks for this medicine were lower than previously communicated.

Genzyme has now informed the Agency that inventories of Fabrazyme will also be lower than anticipated because of low yields of the enzyme after the manufacturing process was restarted.