

Lehdistötiedote 8.10.2002

Gaucherin taudin entsyymihoito on tehokasta pitkällä tähtäimellä

Cerezyme® on osoittautunut tehokkaaksi pitkän tähtäimen entsyymikorvaushoidoksi Gaucherin tautiin. *American Journal of Medicinessä* hiljattain julkaistu raportti esittelee tutkimusta, johon osallistui yli tuhat Gaucher-potilasta eri puolilta maailmaa. Niin sanottuun Gaucher-rekisteriin kuuluneita potilaita hoidettiin Cerezymellä jopa viiden vuoden ajan.

Gaucherin tauti on perinnöllinen, krooninen ja invaliditeettia aiheuttava sairaus, joka aiheutuu glukoserebrosidaasientsyymien puutteesta. Potilailla esiintyy usein anemiasia, he saavat helposti mustelmia ja nenäverenvuotoja. Maksa ja perna ovat laajentuneet, ja sairaus heikentää luustoa lisäten murtumien ja muiden komplikaatioiden vaaraa.

Raportti osoittaa, että Cerezyme-hoito pysäyttää ja estää sairauden merkittävimpien oireiden kehittymistä. Vaikka Gaucherin taudin vaikeusaste ja oireet vaihtelevat potilaskohtaisesti, Cerezyme-hoidon tulokset ovat huomattavan samankaltaisia koko potilasryhmässä. Hemoglobiini-taso nousi ja trombosyyttien määrä kasvoi lähes normaaleiksi, ja potilailla esiintyi vähemmän luusärkyä ja luunmurtumia.

Professori Flemming Skovby tanskalaisesta Rigshospitalista kertoo, että sairaalan kliinisen genetiikan osastolla annetaan Cerezyme-hoitoa neljälle Gaucher-potilaalle. "Olemme saaneet vakuuttavia hoitotuloksia. Potilaille annetaan Cerezymeä infuusiona kahden viikon välein, eikä yhdelläkään potilaalla ole todettu haittavaikutuksia. Hoidon ansiosta aiemmin vaikeasti sairast potilaat voivat nyt elää lähes normaalisti".

Raportissa esitetyt hoitotulokset perustuvat hoitohenkilöstön ja potilasyhdistysten yhteistyössä keräämiin tietoihin. Kirjoittajat uskovat tulosten antavan osviittaa siitä, mitä Cerezyme-hoidolta voidaan odottaa ja millaiset tavoitteet hoitovasteelle voidaan asettaa. Näiden tulosten sekä yli 11 vuoden käyttökokemuksen perusteella Cerezyme-hoitoa pidetään tällä hetkellä Gaucherin taudin standardihoitona.

Raportin mukaan hemoglobiini nousi normaalitasolle noin 90 prosentilla anemiasta kärsivistä Gaucher-potilaista kahden vuoden kuluessa hoidon alkamisesta. Trombosyyttien määrä potilailla, joilta pernaa ei ollut poistettu, nousi 50–100 prosenttia 12 kuukauden kuluessa ja jatkoi nousua jopa viiden vuoden ajan. Maksan koko pieneni 20–30 prosenttia 1–2 vuodessa ja jopa 40 prosenttia viidessä vuodessa. Pernan koko oli 30 prosenttia pienempi vuoden ja 50 prosenttia pienempi kahden vuoden kuluttua. Hoidon vaikutus luusärkyyn oli havaittavissa 50 prosentilla potilaista vuoden tai kahden kuluttua, ja luuston heikkenemiseen liittyvien seurausten uusiutuminen tai uusien seurausten ilmeneminen oli olennaisesti vähäisempää.

Genzymen sponsoroima Gaucher-rekisteri perustettiin vuonna 1991, jolloin entsyymihoito aloitettiin. Rekisteri on laajin Gaucherin tautia koskevaa tietoa sisältävä tietokanta maailmassa. Se sisältää tietoja yli 2.500 potilaasta. Rekisteriä kehittää kansainvälinen Gaucher-työryhmä, joka koostuu noin 250 lääkäristä 46 maasta. Rekisteriä koordinoi lautakunta, jonka jäseninä toimivilla lääkäreillä on runsaasti kokemusta Gaucherin taudin hoidosta.

Lisätietoja antaa

General Manager Nordic Area, Genzyme
Hilde Furberg
Puh. +45 40 91 15 91

Cerezyme on rekombinantientsyymikorvaushoito Gaucherin taudin hoitoon. Nykyään 3.400 potilasta yli 55 maassa saa Cerezyme-hoitoa päivittäin. Genzyme General kehittää ja markkinoi lääkevalmisteita sekä diagnostiikkatuotteita ja -palveluita. Genzyme General markkinoi tällä hetkellä viittä lääkettä. Kehitystyön alla on lisäksi useita lupaavia lääkevalmisteita, jotka on tarkoitettu perinnöllisten sairauksien ja eräiden muiden kroonisten, invaliditeettia aiheuttavien sairauksien hoitoon. Genzyme General on osa Genzymen Corporationia.