

22 avril 2010

Communication aux professionnels de santé sur l'approvisionnement  
en Fabrazyme® (agalsidase bêta)  
Délai supplémentaire concernant le retour à un approvisionnement  
normal  
et recommandations de traitement  
pour les patients présentant une détérioration clinique

Madame, Monsieur,

Faisant suite à la communication de février 2010 annonçant un retour à la normale de l'approvisionnement en Fabrazyme® fin juin 2010, Genzyme souhaite **vous informer de la prolongation de la période de restriction d'approvisionnement en Fabrazyme® et fournir des recommandations de traitement actualisées.**

- Genzyme a détecté une défaillance sur un équipement du site de production d'Allston qui entraîne une prolongation de la période de restriction d'approvisionnement en Fabrazyme® en Europe. **Jusqu'à fin septembre 2010 au moins, les approvisionnements en Fabrazyme® resteront limités à 30% de la demande mondiale.**
- Genzyme souhaite ainsi fournir des recommandations temporaires de traitement pour s'assurer que les patients présentant une maladie de Fabry puissent continuer à recevoir un traitement approprié. **Les recommandations de traitement communiquées dans le courrier de septembre 2009 (Lettre d'information aux professionnels de santé de septembre 2009) restent en vigueur.**
- La revue des effets indésirables issus de la notification spontanée montre une évolution des manifestations cliniques indiquant une progression de la maladie de Fabry chez les patients traités à une dose réduite. Les douleurs, les manifestations cardiaques et la surdit  sont des sympt mes usuels de la maladie de Fabry. Les patients traités à une dose réduite doivent faire l'objet d'une surveillance clinique étroite. Chez les patients qui présenteraient une aggravation des sympt mes de la maladie et/ou des effets indésirables imputés à la diminution de la posologie de Fabrazyme®, il est conseillé de reprendre le traitement au schéma posologique initial ou d'initier un traitement par une autre spécialité autorisée.

- Tous les patients, en particulier ceux qui auront eu un ajustement de leur schéma posologique, devront faire l'objet d'une surveillance clinique étroite. Un examen médical, incluant tous les paramètres cliniques pertinents, devra être réalisé tous les 2 mois. Il est essentiel que les taux plasmatiques ou urinaires de GL-3 soient surveillés puisque le taux de GL-3 est actuellement le paramètre de suivi le plus sensible.
- Les effets indésirables observés doivent continuer à être déclarés selon les modalités habituelles<sup>1</sup> et il est rappelé aux médecins de renseigner les numéros de lots dans le dossier des patients.

Ces recommandations sont temporaires et ne modifient pas le Résumé des Caractéristiques du Produit actuellement approuvé pour Fabrazyme®. Ces recommandations s'appliquent uniquement jusqu'au retour à un approvisionnement normal.

Pour toute information complémentaire, vous pouvez contacter Genzyme France par e-mail ([medinfofrance@genzyme.com](mailto:medinfofrance@genzyme.com)) ou par téléphone au numéro vert 0800 100 499.

Très cordialement,

Dr Carlo Incerti  
Responsable R&D Europe

Annexe : recommandations temporaires de traitement pour Fabrazyme®, septembre 2009.

---

<sup>1</sup> *Nous vous rappelons que tout effet indésirable grave ou inattendu doit être signalé au Centre Régional de Pharmacovigilance dont vous dépendez (coordonnées sur le site internet de l'Afssaps : [www.afssaps.sante.fr](http://www.afssaps.sante.fr) ou dans le dictionnaire Vidal).*

## Annexe

### Recommandations temporaires de traitement pour Fabrazyme<sup>®</sup>, septembre 2009

Le schéma d'administration de Fabrazyme<sup>®</sup> le plus souvent utilisé est d'une perfusion (1 mg/kg) toutes les deux semaines. Pendant cette période d'approvisionnement limité, les nouvelles recommandations de traitement convenues avec l'EMA sont les suivantes :

- Les enfants et les adolescents (< 18 ans) devront recevoir Fabrazyme<sup>®</sup> à la dose et à la fréquence recommandée.
- Les patients adultes hommes et les patients adultes femmes déjà traités/stabilisés pourront recevoir Fabrazyme<sup>®</sup> à une dose ajustée de 0,3 mg/kg (dose d'entretien) toutes les 2 semaines.
- Les patients qui auront un ajustement de leur schéma posologique devront faire l'objet d'une surveillance clinique étroite. Un examen médical complet incluant tous les paramètres cliniques pertinents devra être réalisé tous les 2 mois. Il est tout-à-fait essentiel que les taux plasmatiques ou urinaires de GL-3 soient surveillés puisque le taux de GL-3 est actuellement le paramètre de suivi le plus sensible. Les patients qui présenteront une évolution de la maladie devront reprendre le traitement par Fabrazyme<sup>®</sup> au schéma posologique initial.