



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/691698/2017
EMA/H/C/003724

Резюме на EPAR за обществено ползване

Cerdelga eliglustat

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Cerdelga. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Cerdelga.

За практическа информация относно употребата на Cerdelga пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

Какво представлява Cerdelga и за какво се използва?

Cerdelga е лекарство, което се използва за дългосрочно лечение на възрастни пациенти с болест на Гоше тип 1. Болестта на Гоше е рядко наследствено заболяване, при което страдащите от болестта имат дефицит на ензим, наречен глюкоцереброзидаза (известен също като кисела бета-глюкозидаза). Този ензим нормално разгражда продукт на мастната обмяна, наречен глюкозилцерамид (или глюкоцереброзид), и при липсата на този ензим глюкозилцерамидът се натрупва в организма, обикновено в черния дроб, слезката и костите. Това предизвиква симптомите на заболяването: анемия (малък брой червени кръвни клетки), умора, лесно образуване на синини и склонност към кървене, уголемена слезка и черен дроб и болки в костите и фрактури.

Cerdelga се прилага при пациенти с болест на Гоше тип 1, която е от типа обикновено засягащ черния дроб, слезката и костите. Cerdelga се прилага при пациенти, чийто организъм разгражда това лекарство при нормална скорост (известни като „междинни“ или „екстензивни метаболитатори“) или с ниска скорост („слаби метаболитатори“).

Тъй като броят на пациентите с болестта на Гоше е малък, болестта се счита за „рядка“ и Cerdelga е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 4 декември 2007 г.

Cerdelga съдържа активното вещество елиглулат (*eliglustat*).



Как се използва Cerdelga?

Cerdelga се предлага под формата на капсули (84 mg), които да се приемат през устата. Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да се започва и наблюдава от лекар, който има опит в лечението на болестта на Гоше. Преди започване на лечението с Cerdelga трябва да се проведе изследване, за да се установи колко бързо лекарството се разгражда в организма на пациентите (т.е. да се определи дали те са слаби, междинни или екстензивни метаболитатори). Лекарството не трябва да се прилага на пациенти, чието тяло го разгражда при много висока скорост (известни като „свърхбързи метаболитатори“) или на пациенти, за които способността за разграждане на лекарството не е известна или на които не е направено изследване.

Препоръчителната доза Cerdelga е 1 капсула два пъти дневно при пациенти, чийто организъм разгражда лекарството с нормална скорост (междинни или екстензивни метаболитатори). За пациенти, чийто организъм разгражда лекарството бавно (слаби метаболитатори), препоръчителната доза е 1 капсула веднъж дневно. За повече информация вижте листовката.

Как действа Cerdelga?

Активното вещество в Cerdelga, елиглулат, действа, като блокира действието на ензим, участващ в производството на мазнината глюкозилцерамид. Тъй като натрупването на глюкозилцерамид в органи като слезка, черен дроб и кости причинява симптомите на болестта на Гоше тип 1, намаляването на производството му помага за предотвратяване на натрупването на глюкозилцерамид, а по този начин — и за по-доброто функциониране на засегнатите органи.

Какви ползи от Cerdelga са установени в проучванията?

В две основни проучвания е доказано, че Cerdelga е ефективен при лечение на болестта на Гоше.

Първото проучване обхваща 40 нелекувани преди това пациенти с болестта на Гоше тип 1 и разглежда предимно намаляването на размера на слезката на пациентите. След 9-месечно лечение пациентите, получили елиглулат, показват средно намаление от 28% в размера на слезката в сравнение с 2% увеличение при пациентите, получавали плацебо (сляпо лечение). Пациентите, получили Cerdelga, също показват подобрене на други признаци на заболяването, например намаляване на размера на черния дроб и повишаване на нивата на хемоглобина (протеинът в червените кръвни клетки, който пренася кислорода в организма).

Също така е доказано, че Cerdelga е ефективен в друго проучване при 160 пациенти с болестта на Гоше тип 1, които са лекувани преди това с терапия за заместване на липсващия ензим и при които симптомите на заболяването са под контрол. Някои от пациентите са лекувани с Cerdelga, докато други — с ензим-заместваща терапия. Това проучване показва, че след лечение в продължение на година болестта остава в стабилна форма при 85% от пациентите, лекувани с Cerdelga, в сравнение с 94% от пациентите, продължили с ензим-заместваща терапия.

Какви са рисковете, свързани с Cerdelga?

Най-честата нежелана лекарствена реакция при Cerdelga е диспепсия (стомашни киселини), при приблизително 6 от 100 пациенти. Най-честата тежка нежелана лекарствена реакция е припадък, при 8 от 1000 пациенти. По-голямата част от нежеланите лекарствени реакции са леки и отшумяват бързо. За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции, съобщени при Cerdelga, вижте листовката.

Cerdelga не трябва да се приема едновременно с определени лекарства, които могат да повлияят на способността на организма да разгражда лекарството, а това от своя страна да повлияе на нивата на Cerdelga в кръвта. За пълния списък на ограниченията вижте листовката.

Защо Cerdelga е разрешен за употреба?

Доказано е, че Cerdelga е ефективен за подобряване на симптомите на болестта при по-голяма част от нелекуваните преди това пациенти с болестта на Гоше тип 1 и за поддържане на стабилна форма на заболяването при повечето пациенти, лекувани преди това с ензим-заместваща терапия. Въпреки това по-малка част от пациентите (около 15%), които са преминали от ензим-заместваща терапия на лечение с Cerdelga, не се повлияват оптимално след лечение в продължение на една година. За тези пациенти трябва да бъдат обмислени и други възможности за лечение. Всички пациенти, преминаващи от ензим-заместваща терапия, трябва редовно да се проследяват за прогресия на заболяването.

По отношение на безопасността, нежеланите лекарствени реакции са предимно леки и временни, но СНМР препоръчва допълнително проучване на дългосрочната безопасност на лекарството.

Европейската агенция по лекарствата заключава, че ползите от Cerdelga са по-големи от рисковете, и препоръча Cerdelga да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Cerdelga?

Фирмата, която предлага Cerdelga, ще предостави на лекарите и пациентите образователни материали, които да гарантират, че само пациенти с болестта на Гоше тип 1 се лекуват с Cerdelga и че Cerdelga не се използва заедно с други лекарства, които могат значително да променят нивата му в кръвта. Всички пациенти, на които е предписан Cerdelga, ще бъдат снабдени със сигнална карта на пациента. Фирмата също така ще поддържа регистър на пациенти, лекувани с Cerdelga, за да разгледа дългосрочната безопасност на лекарството.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Cerdelga, които да се спазват от здравните специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Допълнителна информация за Cerdelga:

На 19 януари 2015 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Cerdelga, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR и резюме на плана за управление на риска за Cerdelga може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). За повече информация относно лечението с Cerdelga прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Cerdelga може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Дата на последно актуализиране на текста 10-2017.