



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Cerdelga eliglustatum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Cerdelga. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Cerdelga používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Cerdelga, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

Co je Cerdelga a k čemu se používá?

Cerdelga je léčivý přípravek používaný k dlouhodobé léčbě dospělých pacientů s Gaucherovou chorobou typu 1. Gaucherova choroba je vzácná dědičná porucha, při které nemají lidé dostatek enzymu zvaného glukocerebrosidáza (také známého jako kyselá beta-glukosidáza). Za normálních okolností tento enzym štěpí lipid zvaný glukosylceramid (nebo glukocerebrosid), a pokud enzym chybí, hromadí se tento lipid v těle – obvykle v játrech, slezině a kostech. To způsobuje příznaky Gaucherovy choroby: anémii (nízký počet červených krvinek), únavu, snadnou tvorbu podlitin a tendenci ke krvácení, zvětšení sleziny a jater, bolest kostí a zlomeniny.

Přípravek Cerdelga se používá u pacientů, kteří trpí Gaucherovou chorobou typu 1, což je typ obvykle postihující játra, slezinu a kosti. Přípravek Cerdelga se používá u pacientů, jejichž organismus odbourává tento léčivý přípravek běžnou rychlostí (pacienti se „středně rychlým“ nebo „rychlým“ metabolismem) nebo nízkou rychlostí (pacienti s „pomalým“ metabolismem).

Jelikož počet pacientů s Gaucherovou chorobou je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Cerdelga byl dne 4. prosince 2007 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Přípravek Cerdelga obsahuje léčivou látku eliglustat.



Jak se přípravek Cerdelga používá?

Přípravek Cerdelga je dostupný ve formě tobolek (84 mg) určených k perorálnímu (ústnímu) užívání. Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis a léčbu by měl zahajovat i sledovat lékař, který má zkušenosti s léčbou Gaucherovy choroby. Před zahájením léčby přípravkem Cerdelga je třeba provést test ke zjištění, jak rychle je přípravek v organismu pacienta odbouráván (tj. stanovit, zda se jedná o pacienta s pomalým, středně rychlým nebo rychlým metabolismem). Tento léčivý přípravek by neměl být podáván pacientům, jejichž organismus ho odbourává velice rychle (pacientům s „ultrarychlým“ metabolismem), nebo těm, u nichž není zjištěna či dosud nebyla testována schopnost odbourávání léčivého přípravku.

Doporučená dávka přípravku Cerdelga je 1 tobolka užívaná dvakrát denně u pacientů, jejichž organismus odbourává léčivý přípravek běžnou rychlostí (pacientů se středně rychlým nebo rychlým metabolismem). U pacientů, jejichž organismus odbourává léčivý přípravek nízkou rychlostí (pacientů s pomalým metabolismem), je doporučená dávka 1 tobolka užívaná jednou denně. Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.

Jak přípravek Cerdelga působí?

Léčivá látka v přípravku Cerdelga, eliglustat, brání činnosti enzymu účastnícího se tvorby lipidů zvaného glukosylceramid. Hromadění tohoto lipidu v orgánech jako slezina, játra a kosti způsobuje příznaky Gaucherovy choroby typu 1. Snižování jeho tvorby proto pomáhá předcházet jeho hromadění, a tím umožňuje, aby postižené orgány fungovaly lépe.

Jaké přínosy přípravku Cerdelga byly prokázány v průběhu studií?

Účinnost přípravku Cerdelga v léčbě Gaucherovy choroby byla prokázána ve dvou hlavních studiích.

První studie zahrnovala 40 dříve neléčených pacientů s Gaucherovou chorobou typu 1 a zabývala se především zmenšením velikosti sleziny u pacientů. U pacientů, kterým byl podáván eliglustat, bylo po 9 měsících léčby prokázáno průměrné zmenšení velikosti sleziny o 28 % ve srovnání s 2% zvětšením u pacientů, kterým bylo podáváno placebo (léčba neúčinným přípravkem). U pacientů, kteří dostávali přípravek Cerdelga, došlo také ke zlepšení jiných příznaků onemocnění, jako například ke zmenšení velikosti jater a zvýšení hladiny hemoglobinu (bílkoviny nacházející se v červených krvinkách, která přenáší kyslík do celého těla).

Přípravek Cerdelga také prokázal účinnost v jiné studii, která zahrnovala 160 pacientů s Gaucherovou chorobou typu 1, kteří byli dříve léčeni substitucí (nahrazením) chybějícího enzymu a jejichž příznaky nemoci byly pod kontrolou. Někteří pacienti byli léčeni přípravkem Cerdelga, zatímco jiní byli léčeni enzymatickou substituční terapií. Tato studie ukázala, že po roce léčby bylo onemocnění stabilní u 85 % pacientů léčených přípravkem Cerdelga oproti 94 % pacientů, kteří pokračovali v enzymatické substituční terapii.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Cerdelga?

Nejčastějším nežádoucím účinkem přípravku Cerdelga je dyspepsie (pálení žáhy), která postihuje přibližně 6 pacientů ze 100. Nejčastějším závažným nežádoucím účinkem bylo omdlívání, které se vyskytovalo u 8 z 1 000 pacientů. Většina nežádoucích účinků je mírné a krátkodobé povahy. Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Cerdelga je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Cerdelga nesmí být užíván společně s určitými léky, které mohou narušovat schopnost organismu odbourávat tento přípravek, a tím mohou ovlivnit jeho hladinu v krvi. Úplný seznam omezení je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Cerdelga schválen?

Bylo prokázáno, že přípravek Cerdelga je účinný při zlepšování příznaků onemocnění u většiny dříve neléčených pacientů s Gaucherovou chorobou typu 1 a při udržování onemocnění ve stabilním stavu u většiny pacientů dříve léčených substitucí enzymu. Nicméně malá část pacientů (přibližně 15 %), kteří byli převedeni z enzymatické substituční terapie na přípravek Cerdelga, na léčbu po jednom roce nezareagovala optimálně. U těchto pacientů by měly být zváženy další možnosti léčby. U všech pacientů přecházejících z enzymatické substituční terapie by měla být pravidelně sledována progresse onemocnění.

Pokud jde o bezpečnost, nežádoucí účinky byly většinou mírné a přechodné, ale výbor CHMP doporučil, aby dlouhodobá bezpečnost přípravku byla dále zkoumána.

Evropská agentura pro léčivé přípravky dospěla k závěru, že přínosy přípravku Cerdelga převyšují jeho rizika, a proto doporučila, aby byl schválen k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Cerdelga?

Společnost, která přípravek Cerdelga dodává na trh, poskytne lékařům a pacientům vzdělávací materiály, aby zajistila, že přípravkem Cerdelga budou léčení pouze pacienti s Gaucherovou chorobou typu 1 a že přípravek Cerdelga nebude používán společně s jinými léky, které mohou významně změnit jeho hladinu v krvi. Všichni pacienti, kterým je předepsán přípravek Cerdelga, dostanou výstražnou kartu pacienta. Společnost rovněž povede evidenci pacientů léčených přípravkem Cerdelga, aby bylo možné sledovat dlouhodobou bezpečnost přípravku.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla dále zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Cerdelga, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienti.

Další informace o přípravku Cerdelga

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Cerdelga platné v celé Evropské unii dne 19. ledna 2015.

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Cerdelga je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Další informace o léčbě přípravkem Cerdelga naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Cerdelga vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 10-2017.