



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Cerdelga Eliglustat

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Cerdelga. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Cerdelga zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Cerdelga benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Was ist Cerdelga und wofür wird es angewendet?

Cerdelga ist ein Arzneimittel, das zur Langzeitbehandlung erwachsener Patienten mit Morbus Gaucher Typ 1 angewendet wird. Morbus Gaucher ist eine seltene Erbkrankheit, bei der die Patienten über eine unzureichende Menge eines Enzyms mit dem Namen Glucocerebrosidase (auch saure Beta-Glucosidase genannt) verfügen. Dieses Enzym baut normalerweise ein Fett namens Glucosylceramid (oder Glucocerebrosid) ab; ohne dieses Enzym sammelt sich das Fett im Körper an, und zwar typischerweise in der Leber, der Milz und den Knochen. Dies führt zu den Symptomen der Krankheit: Anämie (verminderte Anzahl roter Blutkörperchen), Müdigkeit, häufige Blutergüsse und Blutungsneigung, vergrößerte Milz und Leber sowie Knochenschmerzen und Knochenbrüche.

Cerdelga wird bei Patienten angewendet, die an Morbus Gaucher Typ 1 leiden, die in der Regel die Leber, die Milz und die Knochen betrifft. Cerdelga wird bei Patienten angewendet, deren Körper dieses Arzneimittel mit normaler Geschwindigkeit (sogenannte „intermediäre“ oder „schnelle Metabolisierer“) oder mit langsamer Geschwindigkeit („langsame Metabolisierer“) abbaut.

Da es nur wenige Patienten mit Morbus Gaucher gibt, gilt die Krankheit als selten, und Cerdelga wurde am 4. Dezember 2007 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Cerdelga enthält den Wirkstoff Eliglustat.



Wie wird Cerdelga angewendet?

Cerdelga ist als 84 mg-Kapseln zum Einnehmen erhältlich. Es ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung mit Cerdelga muss von einem Arzt, der Erfahrung in der Behandlung von Morbus Gaucher besitzt, eingeleitet und überwacht werden. Vor Beginn der Behandlung mit Cerdelga ist zu testen, wie schnell das Arzneimittel im Körper des Patienten abgebaut wird (d. h. um zu bestimmen, ob es sich um einen langsamen, intermediären oder schnellen Metabolisierer handelt). Dieses Arzneimittel sollte nicht bei Patienten angewendet werden, deren Körper dieses Arzneimittel mit sehr hoher Geschwindigkeit abbaut („ultraschnelle Metabolisierer“) oder deren Fähigkeit, das Arzneimittel abzubauen, unbekannt ist bzw. für die keine Untersuchung durchgeführt wurde.

Die empfohlene Dosis Cerdelga ist eine Kapsel zweimal täglich bei Patienten, deren Körper das Arzneimittel mit normaler Geschwindigkeit abbaut (intermediäre oder schnelle Metabolisierer). Bei Patienten, deren Körper das Arzneimittel langsam abbaut (langsame Metabolisierer), beträgt die empfohlene Dosis eine Kapsel einmal täglich. Nähere Informationen sind der Packungsbeilage zu entnehmen.

Wie wirkt Cerdelga?

Der Wirkstoff in Cerdelga, Eliglustat, wirkt durch Hemmung der Aktivität eines Enzyms, das eine Rolle bei der Bildung des Glucosylceramid-Fetts spielt. Da die Ansammlung dieses Fetts in Organen wie der Milz, der Leber und den Knochen für die Symptome von Morbus Gaucher Typ 1 verantwortlich ist, verhindert die Verminderung von dessen Bildung dessen Ansammlung und sorgt somit für eine bessere Funktion der betroffenen Organe.

Welchen Nutzen hat Cerdelga in den Studien gezeigt?

In zwei Hauptstudien wurde gezeigt, dass Cerdelga bei der Behandlung von Morbus Gaucher wirksam ist.

In der ersten Studie wurden 40 zuvor unbehandelte Patienten mit Morbus Gaucher Typ 1 aufgenommen; untersucht wurde hauptsächlich die Verkleinerung der Milz der Patienten. Patienten, die Eliglustat erhielten, zeigten nach neunmonatiger Behandlung eine durchschnittliche Verkleinerung der Milz von 28 %, demgegenüber steht eine Vergrößerung der Milz von 2 % bei den Patienten, die Placebo (Scheinbehandlung) erhielten. Patienten, die Cerdelga erhielten, zeigten außerdem eine Besserung weiterer Krankheitssymptome, wie z. B. Verkleinerung der Leber und erhöhte Spiegel von Hämoglobin (das Protein in roten Blutkörperchen, das Sauerstoff im Körper transportiert).

Die Wirksamkeit von Cerdelga wurde darüber hinaus in einer weiteren Studie mit 160 Patienten mit Morbus Gaucher Typ 1, die zuvor mit einer Therapie zum Ersatz des fehlenden Enzyms behandelt wurden und deren Krankheitssymptome unter Kontrolle waren, gezeigt. Einige Patienten wurden mit Cerdelga behandelt, während andere mit einer Enzyersatztherapie behandelt wurden. In dieser Studie zeigte sich, dass die Krankheit bei 85 % der mit Cerdelga behandelten Patienten nach einjähriger Behandlung stabil blieb, verglichen mit 94 % der Patienten, die weiterhin mit der Enzyersatztherapie behandelt wurden.

Welche Risiken sind mit Cerdelga verbunden?

Eine sehr häufige Nebenwirkung von Cerdelga ist Dyspepsie (Sodbrennen) bei etwa 6 von 100 Patienten. Die häufigste schwerwiegende Nebenwirkung war Ohnmacht bei 8 von 1 000 Patienten. Die Mehrzahl der Nebenwirkungen ist von leichter und vorübergehender Natur. Die vollständige

Auflistung der im Zusammenhang mit Cerdelga berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Cerdelga darf nicht in Kombination mit bestimmten anderen Arzneimitteln angewendet werden, die die Fähigkeit des Körpers, das Arzneimittel abzubauen, beeinträchtigen können, da dies Auswirkungen auf die Cerdelga-Spiegel im Blut haben könnte. Die vollständige Auflistung der Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Cerdelga zugelassen?

Cerdelga hat sich als wirksam zur Linderung der Krankheitssymptome bei der Mehrzahl der zuvor unbehandelten Patienten mit Morbus Gaucher Typ 1 sowie als wirksam zur Stabilisierung der Krankheit bei den meisten der zuvor mit einer Enzymersatztherapie behandelten Patienten erwiesen. Allerdings zeigte ein kleiner Teil der Patienten (etwa 15 %), die von einer Enzymersatztherapie auf Cerdelga umgestellt wurden, nach einer Behandlungsdauer von einem Jahr kein optimales Ansprechen. Für diese Patienten sollten andere Behandlungsoptionen in Erwägung gezogen werden. Alle Patienten, die von einer Enzymersatztherapie umgestellt werden, sollten regelmäßig hinsichtlich eines Fortschreitens der Krankheit überwacht werden.

In Bezug auf die Sicherheit waren die meisten Nebenwirkungen leichter und vorübergehender Natur; der CHMP empfahl dennoch eine weitere Untersuchung der Langzeitsicherheit des Arzneimittels.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Cerdelga gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, die Genehmigung für das Inverkehrbringen zu erteilen.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Cerdelga ergriffen?

Das Unternehmen, das Cerdelga in den Verkehr bringt, Ärzten und Patienten Informationsmaterial bereitstellen, um sicherzustellen, dass ausschließlich Patienten mit Morbus Gaucher Typ 1 mit Cerdelga behandelt werden und dass Cerdelga nicht in Kombination mit anderen Arzneimitteln angewendet wird, die dessen Blutspiegel erheblich beeinflussen können. Alle Patienten, denen Cerdelga verschrieben wird, erhalten einen Patientenpass. Das Unternehmen wird außerdem Protokoll über mit Cerdelga behandelte Patienten führen, um die Langzeitsicherheit des Arzneimittels zu überwachen.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Cerdelga, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Weitere Informationen über Cerdelga

Am 19. Januar 2015 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Cerdelga in der gesamten Europäischen Union.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Cerdelga finden Sie auf der Website der Agentur: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Cerdelga benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Cerdelga finden Sie auf der Website der Agentur: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 10-2017 aktualisiert.