



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/722663/2014
EMA/H/C/003724

Resumen del EPAR para el público general

Cerdelga

eliglustat

El presente documento resume el informe público Europeo de evaluación (EPAR) de Cerdelga. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado dicho medicamento y emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización en la UE y sus condiciones de uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Cerdelga.

Para más información sobre el tratamiento con Cerdelga, el paciente deberá leer el prospecto (también incluido en el EPAR) o consultar a su médico o farmacéutico.

¿Qué es Cerdelga y para qué se utiliza?

Cerdelga es un medicamento que se utiliza para el tratamiento a largo plazo de pacientes adultos con enfermedad de Gaucher de tipo-1. La enfermedad de Gaucher es un trastorno hereditario raro en el cual las personas que lo sufren no producen suficiente cantidad de una enzima llamada glucocerebrosidasa (también conocido como beta-glucosidasa ácida). Esta enzima degrada una grasa denominada glucosilceramida (o glucocerebrósido) y, sin ella, dicha sustancia se acumula en el organismo, por lo general en el hígado, el bazo y los huesos. Esto produce los siguientes síntomas de la enfermedad: anemia (bajo número de glóbulos rojos), cansancio, facilidad para que se formen hematomas, tendencia a las hemorragias, aumento de tamaño del bazo y el hígado, dolor de huesos y fracturas.

Cerdelga se utiliza en pacientes con enfermedad Gaucher de tipo 1, que es el tipo que normalmente afecta al hígado, el bazo y los huesos. Cerdelga se utiliza en pacientes cuyo organismo degrada este medicamento a velocidad normal (conocidos como metabolizadores intermedios o rápidos) o a velocidad baja (metabolizadores lentos).

Dado que el número de pacientes afectados por la enfermedad de Gaucher es escaso, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Cerdelga fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 4 de diciembre de 2007.

Cerdelga contiene el principio activo eliglustat.



¿Cómo se usa Cerdelga?

Cerdelga se presenta en forma de cápsulas (84 mg) para tomar por vía oral. Solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento deberá iniciarlo y supervisarlo un médico con experiencia en el tratamiento de la enfermedad Gaucher. Antes de comenzar el tratamiento con Cerdelga, debe realizarse una prueba para conocer la velocidad con la que el medicamento se degrada en el organismo del paciente (es decir, para determinar si es un metabolizador lento, intermedio o rápido). Este medicamento no debe administrarse a pacientes cuyo organismo lo degrade muy deprisa (conocidos como «metabolizadores ultrarrápidos») ni a aquellos cuya capacidad para degradar el medicamento se desconozca o a los que no se les haya realizado ninguna prueba.

La dosis recomendada de Cerdelga es de 1 cápsula tomada dos veces al día en pacientes cuyo organismo degrada el medicamento a velocidad normal (metabolizadores intermedios o rápidos). Para el tratamiento de pacientes cuyo organismo degrada el medicamento muy despacio (metabolizadores lentos), la dosis recomendada es de 1 cápsula una vez al día. Para más información, consulte el prospecto.

¿Cómo actúa Cerdelga?

El principio activo de Cerdelga, el eliglustat, actúa bloqueando la acción de una enzima implicada en la producción de la grasa glucosilceramida. Debido a su acumulación en órganos como el bazo, el hígado y los huesos, esta grasa es responsable de los síntomas de la enfermedad de Gaucher de tipo 1. Al reducir su producción, se ayuda a evitar la acumulación y, por tanto, a mejorar el funcionamiento de los órganos afectados.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Cerdelga en los estudios realizados?

Cerdelga ha demostrado ser eficaz en el tratamiento de la enfermedad de Gaucher en dos estudios principales.

En el primer estudio, en el que participaron 40 pacientes con enfermedad de Gaucher de tipo 1 que no habían recibido tratamiento previo, se evaluó principalmente la reducción del tamaño del bazo. Tras 9 meses de tratamiento, los pacientes que recibieron eliglustat mostraron una reducción media del 28 % en el tamaño del bazo, en comparación con un 2 % de aumento en los que recibieron placebo (un tratamiento simulado). Los pacientes que recibieron Cerdelga indicaron también una mejoría de otros signos de la enfermedad, como reducción del tamaño del hígado y aumento de los niveles de hemoglobina (la proteína que se encuentra en los glóbulos rojos y que transporta el oxígeno por todo el cuerpo).

Cerdelga también demostró su eficacia en otro estudio en el que participaron 160 pacientes con enfermedad de Gaucher de tipo 1, que habían recibido anteriormente un tratamiento para sustituir a la enzima que falta y mantener los síntomas de la enfermedad bajo control. Algunos de los pacientes fueron tratados con Cerdelga, mientras que otros recibieron el tratamiento de reposición enzimática. Este estudio demostró que, tras 1 año de tratamiento, la enfermedad se mantuvo estable en el 85 % de los pacientes que recibieron Cerdelga, en comparación con el 94 % de los pacientes que continuaron con el tratamiento de reposición enzimática.

¿Cuál es el riesgo asociado a Cerdelga?

El efecto adverso más frecuente con Cerdelga (observado en más de 1 paciente de cada 10) es la diarrea, que afecta aproximadamente a 6 de cada 100 pacientes. La mayoría de los efectos adversos

son leves y transitorios. Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados sobre Cerdelga, ver el prospecto.

Cerdelga no debe tomarse junto con determinados medicamentos que pueden interferir en la capacidad del organismo para degradar el medicamento, lo que puede afectar a los niveles de Cerdelga en sangre. La lista completa de restricciones puede consultarse en el prospecto.

¿Por qué se ha aprobado Cerdelga?

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia decidió que los beneficios de Cerdelga son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE. Cerdelga demostró ser eficaz para mejorar los síntomas de la enfermedad en la mayoría de los pacientes con enfermedad de Gaucher de tipo 1 no tratados previamente, así como para mantener la enfermedad estable en la mayoría de los pacientes que habían recibido anteriormente un tratamiento de reposición enzimática. Sin embargo, una minoría de los pacientes (aproximadamente el 15 %) que cambiaron el tratamiento de reposición enzimática por Cerdelga no respondieron de forma óptima después de un año de tratamiento. Para estos pacientes deben estudiarse otras opciones de tratamiento. En todos los pacientes que cambien del tratamiento de reposición enzimática debe vigilarse regularmente la progresión de la enfermedad.

Por lo que respecta a la seguridad, los efectos adversos fueron en su mayoría leves y transitorios, pero el CHMP recomendó que se investigase más a fondo la seguridad a largo plazo del medicamento.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Cerdelga?

Se ha elaborado un plan de gestión de riesgos para garantizar que Cerdelga se administra de una forma lo más segura posible. Basándose en este plan, se ha incluido en el Resumen de las Características del Producto y el prospecto de Cerdelga la información sobre seguridad que incluye las precauciones pertinentes que deben adoptar los profesionales sanitarios y los pacientes.

Además, la empresa que comercializa Cerdelga proporcionará a médicos y pacientes materiales formativos para garantizar que solo reciban tratamiento con Cerdelga los pacientes con enfermedad de Gaucher de tipo 1, y que Cerdelga no se utilice junto con otros medicamentos que puedan alterar significativamente sus niveles en sangre. A todos los pacientes a los que se prescriba Cerdelga se les entregará una tarjeta de alerta. La empresa también mantendrá un registro de pacientes tratados con Cerdelga para estudiar la seguridad a largo plazo del medicamento.

Encontrará más información en el [resumen del plan de gestión de riesgos](#).

Otras informaciones sobre Cerdelga

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Cerdelga el 19 de enero de 2015.

El EPAR completo y el resumen del plan de gestión de riesgos de Cerdelga pueden consultarse en el sitio web de la Agencia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para mayor información sobre el tratamiento con Cerdelga, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Cerdelga puede consultarse en el sitio web de la Agencia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 01-2015.