



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR, sažetak za javnost

Cerdelga

eliglustat

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o procjeni (EPAR) lijeka Cerdelga. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek da bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o primjeni lijeka Cerdelga.

Praktične informacije o primjeni lijeka Cerdelga bolesnici trebaju pročitati u uputi o lijeku, odnosno trebaju se obratiti svojem liječniku ili ljekarniku.

Što je Cerdelga i za što se koristi?

Cerdelga je lijek koji se koristi za dugotrajno liječenje odraslih bolesnika s Gaucherovom bolesti tipa 1.

Gaucherova bolest rijedak je nasljedni poremećaj, u slučaju kojeg osobe nemaju dovoljno enzima naziva glukocerebrozidaza (također poznat pod nazivom kiselina beta-glukozidaza). Taj enzim normalno razgrađuje mast naziva glukozilceramid (ili glukocerebrozid), a bez njega mast se nakuplja u tijelu, i to najčešće u jetri, slezeni i kostima. Uslijed toga javljaju se simptomi bolesti: anemija (nizak broj crvenih krvnih stanica), umor, podložnost modricama i sklonost krvarenjima, povećana slezena i jetra, te bol u kostima i prijelomi.

Cerdelga se koristi u bolesnika s Gaucherovom bolesti tipa 1, a to je tip koji najčešće zahvaća jetru, slezenu i kosti. Cerdelga se koristi u bolesnika čije tijelo razgrađuje ovaj lijek normalnom brzinom (poznati kao „srednji” ili „ekstenzivni metabolizatori”) ili malom brzinom („slabi metabolizatori”).

Budući da je broj bolesnika s Gaucherovom bolesti nizak, bolest se smatra „rijetkom” te se Cerdelga označava kao lijek za liječenje rijetkih bolesti od 4. prosinca 2007.

Cerdelga sadržava djelatnu tvar eliglustat.

Kako se Cerdelga koristi?

Lijek Cerdelga dostupan je u obliku kapsula (84 mg) koje se uzimaju na usta. Izdaje se samo na liječnički recept, a liječenje treba započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju Gaucherove

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



bolesti. Prije početka terapije lijekom Cerdelga potrebno je provesti testiranje kako bi se saznalo koliko se brzo lijek razgrađuje u tijelima bolesnika (odnosno kako bi se utvrdilo jesu li slabi, srednji ili ekstenzivni metabolizatori). Lijek se ne smije primjenjivati u bolesnika čije tijelo razgrađuje ovaj lijek velikom brzinom (poznati pod nazivom „ultrabrzi metabolizatori“) ili u onih za koje sposobnost razgradnje lijeka nije poznata ili za koje nije proveden test.

Preporučena je doza lijeka Cerdelga jedna kapsula koja se uzima dvaput dnevno u bolesnika čije tijelo razgrađuje lijek normalnom brzinom (srednji ili ekstenzivni metabolizatori). U bolesnika čije tijelo sporo razgrađuje lijek (slabi metabolizatori), preporučuje se doza od jedne kapsule jednom dnevno. Za dodatne informacije vidjeti uputu o lijeku.

Kako djeluje Cerdelga?

Djelatna tvar lijeka Cerdelga, eliglustat, djeluje inhibirajući enzim uključen u stvaranje masti glukozilceramida. Budući da je nakupljanje ove masti u organima poput slezene, jetre i kostiju odgovorno za simptome Gaucherove bolesti tipa 1, smanjenje stvaranja tog enzima pomaže u sprječavanju nakupljanja, te tako doprinosi boljoj funkciji zahvaćenih organa.

Koje su koristi lijeka Cerdelga utvrđene u ispitivanjima?

Djelotvornost lijeka Cerdelga u liječenju Gaucherove bolesti utvrđena je u dvama glavnim ispitivanjima.

Prvo ispitivanje obuhvatilo je 40 prethodno neliječenih osoba s Gaucherovom bolesti tipa 1, te je istražilo uglavnom smanjenje slezene bolesnika. Nakon 9 mjeseci terapije u bolesnika koji su primili terapiju eliglustatom utvrđeno je prosječno smanjenje slezene od 28 %, u usporedbi s povećanjem od 2 % u bolesnika koji su primili placebo (prividno liječenje). U bolesnika koji su primili lijek Cerdelga došlo je također do poboljšanja drugih znakova bolesti, poput smanjenja jetre i povišenja razine hemoglobina (proteina prisutnog u crvenim krvnim stanicama koji prenosi kisik u tijelu).

Djelotvornost lijeka Cerdelga također je utvrđena u drugom ispitivanju koje je obuhvatilo 160 osoba s Gaucherovom bolesti tipa 1 koji su prethodno primali terapiju kako bi se zamijenio enzim koji nedostaje te čiji su simptomi bolesti bili pod kontrolom. Neki bolesnici liječeni su lijekom Cerdelga, dok su drugi liječeni enzimskom nadomjesnom terapijom. Tim je ispitivanjem utvrđeno da je bolest ostala stabilna nakon godine dana terapije u 85 % bolesnika liječenih lijekom Cerdelga, u usporedbi s 94 % u onih koji su nastavili enzimsku nadomjesnu terapiju.

Koji su rizici povezani s lijekom Cerdelga?

Najčešća nuspojava lijeka Cerdelga jest dispepsija (žgaravica), zabilježena u otprilike 6 od 100 bolesnika. Najčešća ozbiljna nuspojava bila je nesvjestica, zabilježena u 8 od 1 000 bolesnika. Većina nuspojava blaga je i kratkotrajna. Potpuni popis svih nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Cerdelga potražite u uputi o lijeku.

Cerdelga se ne smije koristiti zajedno s drugim lijekovima koji mogu ometati mogućnost tijela da razgrađuje lijek, što može utjecati na koncentraciju lijeka Cerdelga u krvi. Potpuni popis ograničenja potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Cerdelga odobren?

Utvrđeno je da je lijek Cerdelga djelotvoran u ublažavanju simptoma bolesti u većini prethodno neliječenih bolesnika s Gaucherovom bolesti tipa 1 te u održavanju ove bolesti stabilnom u većini bolesnika prethodno liječenih enzimskom nadomjesnom terapijom. No, većina onih bolesnika (otprilike

15 %) koji su prešli s enzimске nadomjesne terapije na lijek Cerdelga nije optimalno odgovorila nakon terapije od godinu dana. U tih bolesnika potrebno je razmotriti druge opcije liječenja. U svih bolesnika koji prelaze s enzimске nadomjesne terapije treba redovito nadzirati progresiju bolesti.

Vezano uz sigurnu primjenu, nuspojave su najčešće bile blage i prolazne, no CHMP je preporučio da se dugoročna sigurnost lijeka pobliže istraži.

Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi lijeka Cerdelga nadmašuju s njim povezane rizike i preporučila davanje odobrenja za njegovu primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Cerdelga?

Tvrtka koja stavlja u promet lijek Cerdelga dostavit će liječnicima i bolesnicima edukacijske materijale kako bi osigurala da se lijekom Cerdelga liječe samo bolesnici s Gaucherovom bolesti tipa 1 te da se Cerdelga ne koristi zajedno s drugim lijekovima koji mogu značajno promijeniti njegovu koncentraciju u krvi. Svi bolesnici kojima se propisuje lijek Cerdelga dobit će karticu s upozorenjima za bolesnika. Tvrtka će također voditi evidenciju bolesnika liječenih lijekom Cerdelga radi praćenja dugotrajne sigurnosti lijeka.

U sažetku opisa svojstava lijeka kao i u uputi o lijeku nalaze se preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Cerdelga.

Ostale informacije o lijeku Cerdelga

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje u promet koje je za lijek Cerdelga na snazi u Europskoj uniji od 19. siječnja 2015.

Cjeloviti EPAR za lijek Cerdelga nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Više informacija o terapiji lijekom Cerdelga pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a), odnosno obratite se svojem liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti za lijek Cerdelga dostupan je na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Ovaj sažetak je posljednji put ažuriran: 10. 2017.