



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Cerdelga eliglusztát

Ez a dokumentum a Cerdelga-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Cerdelga alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Cerdelga alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú gyógyszer a Cerdelga és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Cerdelga az 1-es típusú Gaucher-kórban szenvedő felnőttek hosszú távú kezelésére alkalmazott gyógyszer. A Gaucher-kór egy ritka, öröklött betegség, amelyben a betegek szervezetében nincs elegendő mennyiségű glükocerebrozidáz enzim (más néven savas béta-glükozidáz). Ez az enzim normális körülmények között az úgynevezett glükozilceramid (vagy glükocerebrozid) zsírt bontja le, és hiányában a zsír felhalmozódik a szervezetben, jellemzően a májban, a lépben és a csontokban. Ez a betegség alábbi tüneteit váltja ki: vérszegénység (alacsony vörösvérsejtszám), fáradtság, könnyen kialakuló véraláfutás és vérzésre való hajlam, megnagyobbodott lép és máj, valamint csontfájdalom és -törések.

A Cerdelga-t 1-es típusú Gaucher-kórban szenvedő betegeknél alkalmazzák, amely típus általában a májra, a lépre és a csontokra van hatással. A Cerdelga-t olyan betegeknél alkalmazzák, akiknek a szervezete normál sebességgel („közepes” vagy „gyors metabolizálók” néven ismertek) vagy lassan („lassú metabolizálók” néven ismertek) bontja le ezt a gyógyszert.

Mivel a Gaucher-kórban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Cerdelga-t 2007. december 4-én „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették.

A Cerdelga hatóanyaga az eliglusztát.



Hogyan kell alkalmazni a Cerdelga-t?

A Cerdelga szájon át alkalmazandó kapszulák (84 mg) formájában kerül forgalomba. Csak receptre kapható, és a kezelést olyan orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie, aki tapasztalt a Gaucher-kór kezelésében. A Cerdelga-kezelés megkezdése előtt el kell végezni egy vizsgálatot annak meghatározására, milyen gyorsan bomlik le a gyógyszer a betegek szervezetében (azaz annak megállapítására, hogy lassú, közepes vagy gyors metabolizálók-e). A gyógyszer nem adható olyan betegeknek, akiknek a szervezete ezt a gyógyszert nagyon gyorsan bontja le („ultragyors metabolizálók” néven ismertek), illetve olyanoknak, akiknél a gyógyszer lebontásának képessége nem ismert, vagy akiknél nem végezték el a vizsgálatot.

A Cerdelga ajánlott adagja naponta kétszer 1 kapszula olyan betegeknél, akiknek a szervezete normál sebességgel bontja le a gyógyszert (közepes vagy gyors metabolizálók). Azoknál a betegeknél, akiknek a szervezete lassan bontja le a gyógyszert (lassú metabolizálók), az ajánlott adag napi 1 kapszula. További információ a betegtájékoztatóban található.

Hogyan fejti ki hatását a Cerdelga?

A Cerdelga hatóanyaga, az eliglusztát, azáltal hat, hogy gátolja a glükoszilceramid zsír termelésében részt vevő enzim működését. Mivel ennek a zsírnak a felhalmozódása az olyan szervekben, mint például a lép, a máj és a csontok, felelős az 1-es típusú Gaucher-kór tüneteierért, termelésének csökkentése segíti megakadályozni a felhalmozódását, elősegítve ezzel az érintett szervek jobb működését.

Milyen előnyei voltak a Cerdelga alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Cerdelga hatékonyságát a Gaucher-kór kezelésében két fő vizsgálatban bizonyították.

Az első vizsgálatban 40, korábban nem kezelt, 1-es típusú Gaucher-kórban szenvedő beteg vett részt, és a vizsgálat főleg a betegek lépméretének csökkenését tanulmányozta. Az eliglusztáttal kezelt betegeknél 9 havi kezelés után a lép méretének átlagosan 28%-os csökkenését mutatták ki, szemben a placebót (hatóanyag nélküli kezelés) kapóknál tapasztalt 2%-os növekedéssel. A Cerdelga-t szedő betegeknél a betegség más tüneteinek javulását is kimutatták, például a máj méretének csökkenését és a hemoglobin (a vörösvértestekben található fehérje, amely az oxigént szállítja a szervezetben) megnövekedett szintjét.

A Cerdelga hatékonyságát egy másik, 160, 1-es típusú Gaucher-kórban szenvedő beteg részvételével végzett vizsgálatban is igazolták, akiket korábban a hiányzó enzim pótlását célzó terápiával kezeltek, és akiknél a betegség tüneteinek kontrolláltak voltak. Egyes betegeket Cerdelga-val, míg másokat enzimpótló terápiával kezeltek. Ez a vizsgálat megállapította, hogy egy évi kezelést követően a betegség a Cerdelga-val kezelt betegek 85%-ánál maradt stabil, szemben az enzimpótló terápiát folytató betegek 94%-os arányával.

Milyen kockázatokkal jár a Cerdelga alkalmazása?

A Cerdelga leggyakoribb mellékhatása a gyomorégés, amely 100 beteg közül mintegy 6-nál jelentkezik. A leggyakoribb súlyos mellékhatás az ájulás, amely 1000 beteg közül 8-nál jelentkezik. A mellékhatások többsége enyhe és rövid lefolyású. A Cerdelga alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Cerdelga nem szedhető együtt bizonyos olyan gyógyszerekkel, amelyek hatással lehetnek a szervezet gyógyszerlebontó képességére. Ezek befolyásolhatják a Cerdelga vérszintjét. A korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Cerdelga forgalomba hozatalát?

A Cerdelga hatékonynak bizonyult a betegség tüneteinek javításában a korábban nem kezelt, 1-es típusú Gaucher-kórban szenvedő betegek többségénél, valamint a betegség stabilan tartásában a legtöbb, korábban enzimpótló terápiával kezelt betegnél. A betegek kisebb része (mintegy 15%-a) azonban, akik enzimpótló terápiáról Cerdelga kezelésre tértek át, nem reagált optimálisan egy évi kezelést követően. E betegek esetében egyéb kezelési lehetőségeket kell fontolóra venni. Minden, enzimpótló terápiáról áttérő betegnél rendszeresen ellenőrizni kell a betegség progresszióját.

A biztonságosságot illetően a mellékhatások többnyire enyhék és átmenetiek voltak, a CHMP azonban a gyógyszer hosszú távú biztonságosságának további vizsgálatát javasolta.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Cerdelga alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Cerdelga biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Cerdelga-t forgalmazó vállalat oktatóanyagokat bocsát az orvosok és a betegek rendelkezésére annak biztosítására, hogy csak 1-es típusú Gaucher-kórban szenvedő betegeket kezeljenek Cerdelga-val, és hogy a Cerdelga-t ne alkalmazzák együtt más olyan gyógyszerekkel, amelyek jelentősen módosíthatják a vérszintjét. Minden olyan betegnek, akiknek Cerdelga-t írnak fel, betegeknek szóló figyelmeztető kártyát adnak. A gyógyszer hosszú távú biztonságosságának vizsgálata céljából a vállalat nyilvántartást is vezet a Cerdelga-val kezelt betegekről.

A Cerdelga biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Cerdelga-val kapcsolatos egyéb információ

2015. január 19-én az Európai Bizottság a Cerdelga-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Cerdelga-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Amennyiben a Cerdelga-val történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Cerdelga-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 10-2017.