



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Resumo do EPAR destinado ao público

---

# Cerdelga

## eliglustato

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Cerdelga. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Cerdelga.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Cerdelga, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

### O que é o Cerdelga e para que é utilizado?

O Cerdelga é um medicamento utilizado no tratamento de longo prazo de doentes adultos com doença de Gaucher do tipo 1.

A doença de Gaucher é uma doença hereditária rara, caracterizada pela deficiência de uma enzima chamada glicocerebrosidase (também conhecida como ácido beta-glicosidase). Esta enzima decompõe uma gordura designada glicosilceramida (ou glicocerebrosídeo) e, sem ela, a gordura acumula-se no organismo, geralmente no fígado, no baço e nos ossos. Isto causa os sintomas da doença: anemia (baixo número de glóbulos vermelhos), cansaço, hematomas de surgimento fácil e uma tendência para hemorragias, aumento do volume do baço e do fígado e dor e fraturas nos ossos.

O Cerdelga é utilizado em doentes que sofrem de doença de Gaucher do tipo 1, o tipo que afeta normalmente o fígado, o baço e os ossos. O Cerdelga é utilizado em doentes cujo organismo decompõe este medicamento à velocidade normal (os «metabolizadores intermédios» ou «extensivos») ou a uma velocidade lenta («metabolizadores fracos»).

Dado o número de doentes afetados pela doença de Gaucher ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que o Cerdelga foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 4 de dezembro de 2007.

O Cerdelga contém a substância ativa eliglustato.



## Como se utiliza o Cerdelga?

O Cerdelga está disponível na forma de cápsulas (84 mg) a tomar por via oral. Só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico que tenha experiência no tratamento da doença de Gaucher. Antes do início do tratamento com o Cerdelga, deve ser efetuado um teste para se saber a rapidez com que o medicamento é decomposto no organismo dos doentes (para determinar se são metabolizadores fracos, intermédios ou extensivos). Este medicamento não deve ser administrado a doentes cujo organismo decompõe este medicamento a uma velocidade muito rápida (os «metabilizadores ultrarrápidos») ou a doentes cuja capacidade de decomposição do medicamento é desconhecida ou nos quais não foi efetuado qualquer teste.

A dose recomendada do Cerdelga é de uma cápsula duas vezes por dia em doentes cujo organismo decompõe o medicamento à velocidade normal (metabilizadores intermédios ou extensivos). No caso dos doentes cujo organismo decompõe o medicamento de forma lenta (metabolizadores fracos), a dose recomendada é de uma cápsula uma vez por dia. Para mais informações, consulte o Folheto Informativo.

## Como funciona o Cerdelga?

O modo de funcionamento da substância ativa do Cerdelga, o eliglustato, consiste em bloquear a ação de uma enzima envolvida na produção da gordura glicosilceramida. Considerando que a acumulação desta gordura em órgãos como o baço, o fígado e os ossos é responsável pelos sintomas da doença de Gaucher do tipo 1, reduzir a produção de glicosilceramida contribui para evitar a acumulação, ajudando assim os órgãos afetados a funcionarem melhor.

## Quais os benefícios demonstrados pelo Cerdelga durante os estudos?

Dois estudos principais demonstraram que o Cerdelga é eficaz no tratamento da doença de Gaucher.

O primeiro estudo incluiu 40 doentes com doença de Gaucher do tipo 1 não anteriormente tratados e analisou essencialmente a redução do tamanho do baço dos doentes. Os doentes que receberam o eliglustato apresentaram uma redução média de 28 % no tamanho do baço, em comparação com um aumento de 2 % nos doentes que receberam um placebo (tratamento simulado) após 9 meses de tratamento. Os doentes que receberam o Cerdelga apresentaram também uma melhoria de outros sinais da doença, tais como a redução do tamanho do fígado e o aumento dos níveis de hemoglobina (a proteína presente nos glóbulos vermelhos que transporta oxigénio pelo organismo).

O Cerdelga demonstrou eficácia igualmente num outro estudo que incluiu 160 doentes com doença de Gaucher do tipo 1 anteriormente tratados com uma terapêutica destinada a substituir a enzima em falta e cujos sintomas da doença estavam sob controlo. Alguns dos doentes foram tratados com o Cerdelga, ao passo que outros foram tratados com a terapêutica de substituição enzimática. Este estudo constatou que, após um tratamento de um ano, a doença se manteve estável em 85 % dos doentes tratados com o Cerdelga, em comparação com 94 % dos doentes que continuaram com a terapêutica de substituição enzimática.

## Quais são os riscos associados ao Cerdelga?

O efeito secundário mais frequente associado ao Cerdelga é dispepsia (azia), em cerca de 6 num total de 100 doentes. O efeito secundário grave mais frequente foi o desmaio, em 8 em cada 1000 doentes. Os efeitos secundários são, na sua maioria, ligeiros e de curta duração. Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente ao Cerdelga, consulte o Folheto Informativo.

É contraindicada a utilização do Cerdelga em associação com determinados medicamentos que possam interferir com a capacidade do organismo para decompor o medicamento, o que pode afetar os níveis do Cerdelga no sangue. Para a lista completa de restrições de utilização, consulte o Folheto Informativo.

## **Por que foi aprovado o Cerdelga?**

Foi demonstrado que o Cerdelga é eficaz na melhoria dos sintomas da doença na maioria dos doentes com doença de Gaucher do tipo 1 não anteriormente tratados e na manutenção de uma doença estável na maioria dos doentes anteriormente tratados com substituição enzimática. Contudo, uma minoria de doentes (cerca de 15 %) que mudou da substituição enzimática para o Cerdelga não apresentou uma resposta ideal após um tratamento de um ano. Nestes doentes, devem ser consideradas outras opções de tratamento. Nos doentes que mudam da substituição enzimática para o Cerdelga deve ser regularmente monitorizada a progressão da doença.

Em termos de segurança, os efeitos secundários foram essencialmente ligeiros e de curta duração, tendo o CHMP, no entanto, recomendado investigação adicional sobre a segurança do medicamento a longo prazo.

Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios do Cerdelga são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE.

## **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Cerdelga?**

A empresa responsável pela comercialização do Cerdelga fornecerá aos médicos e aos doentes materiais educacionais para garantir que apenas os doentes com doença de Gaucher do tipo 1 são tratados com o Cerdelga e que o Cerdelga não é utilizado em associação com outros medicamentos que possam alterar significativamente os seus níveis no sangue. Todos os doentes aos quais for prescrito Cerdelga receberão um cartão de alerta do doente. A empresa irá também manter um registo dos doentes tratados com o Cerdelga para analisar a segurança do medicamento a longo prazo.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz do Cerdelga.

## **Outras informações sobre o Cerdelga**

Em 19 de janeiro de 2015, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Cerdelga.

O EPAR completo relativo ao Cerdelga pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Para mais informações sobre o tratamento com o Cerdelga, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Cerdelga pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Este resumo foi atualizado pela última vez em 10-2017.