



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Cerdelga eliglustat

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Cerdelga. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Cerdelga.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Cerdelga, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Čo je liek Cerdelga a na čo sa používa?

Cerdelga je liek, ktorý sa používa na dlhodobú liečbu dospelých pacientov s Gaucherovou chorobou typu 1. Gaucherova choroba je zriedkavá dedičná porucha, pri ktorej telo neprodukuje dostatočné množstvo enzýmu, ktorý sa nazýva glukocerebrozidáza (známa tiež ako kyslá betaglukozydáza). Tento enzým za normálnych okolností rozkladá tuk, ktorý sa nazýva glukozylceramid (alebo glukocerebrozid) a bez tohto enzýmu sa tuk ukladá v tele, zvyčajne v pečeni, slezine a kostiach, čo vedie k symptómom choroby: anémii (nízkemu počtu červených krviniek), únave, ľahkému vytváraniu modrín a sklону ku krvácaniu, zväčšenej slezine a pečeni, bolesti v kostiach a zlomeninám kostí.

Liek Cerdelga sa používa u pacientov, ktorí majú Gaucherovu chorobu typu 1, čo je typ, ktorý zvyčajne postihuje pečeň, slezinu a kosti. Liek Cerdelga sa používa u pacientov, ktorých telo rozkladá tento liek normálnou rýchlosťou (známi ako strední alebo extenzívni metabolizéri) alebo pomalou rýchlosťou (pomalí metabolizéri).

Keďže je počet pacientov s Gaucherovou chorobou nízky, choroba sa považuje za zriedkavú, a preto bol liek Cerdelga dňa 4. decembra 2007 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Liek Cerdelga obsahuje účinnú látku eliglustat.



Ako sa liek Cerdelga užíva?

Liek Cerdelga je k dispozícii vo forme kapsúl (84 mg) podávaných do úst. Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s manažmentom Gaucherovej choroby. Pred začatím liečby liekom Cerdelga sa musí vykonať test, aby sa zistilo, ako rýchlo sa liek rozkladá v tele pacientov (t. j. na stanovenie, či sú pomalí, strední alebo extenzívni metabolizéri). Tento liek sa nemá podávať pacientom, ktorých telo rozkladá tento liek veľmi veľkou rýchlosťou (známi ako ultrarýchli metabolizéri) ani pacientom, u ktorých sa nevie, akou rýchlosťou liek rozkladajú, resp. u ktorých nebol vykonaný test.

Odporúčaná dávka lieku Cerdelga je 1 kapsula dvakrát denne u pacientov, ktorých telo rozkladá liek normálnou rýchlosťou (strední alebo extenzívni metabolizéri). Odporúčaná dávka u pacientov, ktorých telo rozkladá liek pomaly (pomalí metabolizéri), je 1 kapsula jedenkrát denne. Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Akým spôsobom liek Cerdelga účinkuje?

Účinná látka v lieku Cerdelga, eliglustat, účinkuje tak, že zablokuje pôsobenie enzýmu, ktorý sa podieľa na produkcii tuku glukozylceramidu. Keďže ukladanie tohto tuku v orgánoch, napríklad v slezine, pečeni a kostiach je zodpovedné za symptómy Gaucherovej choroby typu 1, zníženie jeho produkcie zabraňuje ukladaniu v tele a pomáha tak postihnutým orgánom lepšie fungovať.

Aké prínosy lieku Cerdelga boli preukázané v štúdiách?

V dvoch hlavných štúdiách sa preukázalo, že liek Cerdelga je účinný pri liečbe Gaucherovej choroby.

Prvá štúdia zahŕňala 40 pacientov s Gaucherovou chorobou typu 1, ktorí v minulosti neboli liečení, a skúmala najmä zníženie veľkosti sleziny pacientov. U pacientov, ktorým bol podávaný eliglustat, po 9 mesiacoch liečby sa veľkosť sleziny znížila priemerne o 28 % v porovnaní so zvýšením veľkosti sleziny o 2 % v prípade pacientov, ktorí dostávali placebo (zdanlivý liek). Pacienti, ktorým bol podávaný liek Cerdelga, dosiahli zlepšenie aj pokiaľ ide o ďalšie príznaky choroby, ako je zníženie veľkosti pečene a zvýšenie hladiny hemoglobínu (proteínu, ktorý sa nachádza v červených krvinkách a ktorý prenáša v tele kyslík).

Účinnosť lieku Cerdelga sa preukázala aj v ďalšej štúdii zahŕňajúcej 160 pacientov s Gaucherovou chorobou typu 1, ktorí boli v minulosti liečení terapiou na nahradenie chýbajúceho enzýmu a ktorých symptómy choroby boli pod kontrolou. Niektorí pacienti boli liečení liekom Cerdelga, zatiaľ čo iní pacienti boli liečení substitučnou enzýmovou terapiou. V tejto štúdii sa zistilo, že po liečbe trvajúcej jeden rok ochorenie ostalo stabilné u 85 % pacientov liečených liekom Cerdelga v porovnaní s 94 % pacientov, ktorí pokračovali v substitučnej enzýmovej terapii.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Cerdelga?

Najčastejší vedľajší účinok lieku Cerdelga je dyspepsia (pálenie záhy), ktorá sa vyskytuje približne u 6 pacientov zo 100. Vedľajšie účinky sú väčšinou mierne a krátkodobé. Najzávažnejší vedľajší účinok bola strata vedomia, u 8 pacientov z 1 000. Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Cerdelga sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Cerdelga sa nesmie užívať spolu s určitými liekmi, ktoré môžu narušiť schopnosť tela rozkladať liek, čo môže ovplyvniť hladinu lieku Cerdelga v krvi. Zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Cerdelga povolený?

Preukázalo sa, že liek Cerdelga je účinný pri zlepšovaní symptómov choroby u väčšiny pacientov s Gaucherovou chorobou typu 1, ktorí v minulosti neboli liečení, a pri udržaní stabilného ochorenia u väčšiny pacientov, ktorí boli v minulosti liečení substitučnou enzýmovou terapiou. Menšina pacientov (asi 15 %), ktorí prešli zo substitučnej enzýmovej terapie na liek Cerdelga, však neodpovedala optimálne po liečbe trvajúcej jeden rok. U týchto pacientov je potrebné zvážiť iné možnosti liečby. Všetci pacienti prechádzajúci zo substitučnej enzýmovej terapie musia byť pravidelne sledovaní na progresiu ochorenia.

Pokiaľ ide o bezpečnosť, vedľajšie účinky boli väčšinou mierne a prechodné, výbor CHMP však odporučil, aby sa ďalej skúmala dlhodobá bezpečnosť lieku.

Výbor pre lieky na humánne použitie agentúry rozhodol, že prínosy lieku Cerdelga sú väčšie ako riziká spojené s jeho užívaním a odporučil udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Cerdelga?

Spoločnosť, ktorá liek Cerdelga uvádza na trh, poskytne lekárom a pacientom vzdelávacie materiály, ktoré majú zabezpečiť, aby boli liekom Cerdelga liečení len pacienti s Gaucherovou chorobou typu 1 a aby sa liek Cerdelga nepoužíval spolu s inými liekmi, ktoré môžu výrazne zmeniť hladinu lieku v krvi. Všetci pacienti, ktorým je predpísaný liek Cerdelga, dostanú pohotovostnú kartu pacienta. Spoločnosť bude tiež uchovávať záznam o pacientoch liečených liekom Cerdelga na skúmanie dlhodobej bezpečnosti lieku.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Cerdelga boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Ďalšie informácie o lieku Cerdelga

Dňa 19. januára 2015 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Cerdelga na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Cerdelga sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Cerdelga, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Cerdelga sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 10-2017