



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/541277/2024
EMA/H/C/003724

Cerdelga (*eliglustat*)

En oversigt over Cerdelga, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Cerdelga, og hvad anvendes det til?

Cerdelga er et lægemiddel, der anvendes til langtidsbehandling af Gauchers sygdom type 1 hos voksne og børn fra 6 år, der vejer mindst 15 kg, og hvis sygdom er velkontrolleret med enzymerstatningsbehandling (ERT).

Gauchers sygdom er en genetisk sygdom, der medfører ophobning af fedtstoffet glucosylceramid (eller glucocerebrosid) i kroppen, typisk i leveren, milten og knoglerne. Dette giver symptomer som anæmi (lavt niveau af røde blodlegemer), træthed, tendens til blå mærker, forstørret milt og lever samt knoglesmerter og knoglebrud. Sygdommen skyldes mangel på et enzym, der nedbryder fedt.

Gauchers sygdom er sjælden, og Cerdelga blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 4. december 2007. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme findes på EMA's [websted](#).

Cerdelga indeholder det aktive stof eliglustat.

Hvordan anvendes Cerdelga?

Cerdelga fås kun på recept, og behandlingen bør iværksættes og overvåges af en læge, der har erfaring med behandling af Gauchers sygdom.

Cerdelga fås som kapsler, der skal tages gennem munden. Det må ikke tages sammen med grapefrugt eller grapefrugtjuice. Børn skal kunne sluge kapslerne for at blive behandlet med Cerdelga. Før behandlingen påbegyndes, testes patienten for at se, hvor hurtigt kroppen nedbryder lægemidlet. Voksne, der nedbryder lægemidlet med normal hastighed, får 1 kapsel to gange dagligt, mens de, der nedbryder lægemidlet langsomt, får 1 kapsel én gang dagligt. Børn, der nedbryder lægemidlet med normal hastighed, får 2 kapsler to gange dagligt, mens de, der nedbryder lægemidlet langsomt, får 1 kapsel én gang dagligt.

Patienter, der nedbryder dette lægemiddel meget hurtigt ("ultrahurtige metabolisatorer"), bør ikke tage Cerdelga. Patienter, der ikke er testet, eller for hvem resultaterne af testen ikke er entydige, bør heller ikke få dette lægemiddel.



Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Cerdelga, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Cerdelga?

Det aktive stof i Cerdelga, eliglustat, virker ved at blokere et enzym, der medvirker i produktionen af fedtstoffet glucosylceramid. Symptomerne på Gauchers sygdom type 1 skyldes ophobning af dette fedtstof i organer som milt, lever og knogler. Ved at nedsætte produktionen af stoffet kan man forebygge denne ophobning, og det vil hjælpe de pågældende organer med at fungere bedre.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Cerdelga?

Studier viser, at Cerdelga er effektivt til at behandle Gauchers sygdom type 1, herunder mindske størrelsen af en forstørret milt eller lever.

I et studie med 40 tidligere ubehandlede patienter med Gauchers sygdom type 1 havde de patienter, der fik Cerdelga, efter 9 måneders behandling fået reduceret størrelsen af milten med 28 % sammenholdt med en stigning på 2 % hos dem, der fik behandling med ikkeaktivt stof (placebo). Hos de patienter, der fik Cerdelga, var der desuden bedring i andre sygdomstegn såsom reduktion i størrelsen af leveren og stigning i hæmoglobin (det protein i de røde blodlegemer, der transporterer ilt i kroppen).

Et andet studie så på Cerdelga hos 159 patienter, hvis sygdom var velkontrolleret med enzymerstatningsbehandling. I dette studie forblev sygdommen stabil hos 85 % af de patienter, der skiftede til Cerdelga i et år, og hos 94 % af dem, der fortsatte med enzymerstatningsbehandling.

Et yderligere studie med 51 børn i alderen 2-17 år med Gauchers sygdom type 1 og 3 har vist, at Cerdelga kan forventes at virke på samme måde hos børn som hos voksne.

Hvilke risici er der forbundet med Cerdelga?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Cerdelga fremgår af indlægssedlen.

Den mest almindelige bivirkning ved Cerdelga er dyspepsi (halsbrand), som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 voksne og mere end 1 ud af 10 børn.

Cerdelga må ikke tages af visse patienter med leverproblemer eller af dem, der får visse lægemidler, som kan berøre kroppens evne til at nedbryde lægemidlet.

Hvorfor er Cerdelga godkendt i EU?

Studier viser, at Cerdelga er effektivt til at bedre symptomerne på Gauchers sygdom type 1 hos de fleste tidligere ubehandlede voksne og til at holde sygdommen stabil hos de fleste voksne, der tidligere er blevet behandlet med enzymerstatning. Et mindretal på ca. 15 % af de patienter, der skiftede fra enzymerstatning til Cerdelga, fik dog ikke optimal virkning efter et års behandling. For disse patienter bør der overvejes andre behandlingsmuligheder. Alle patienter, der skifter fra enzymerstatningsbehandling til Cerdelga, bør regelmæssigt overvåges for sygdomsforværring.

Med hensyn til sikkerheden var bivirkningerne hovedsagelig milde og kortvarige, men virksamheden, der markedsfører Cerdelga, skal undersøge den langsigtede sikkerhed ved medicinen yderligere.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Cerdelga opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Cerdelga anvendes sikkert og effektivt?

Virksomheden, der markedsfører Cerdelga, skal sikre, at læger, der forventes at ordinere lægemidlet, får udleveret en ordineringsvejledning, og at patienter, der får ordineret lægemidlet, får udleveret et patientkort. Dette oplysningsmateriale vil hjælpe med at sikre, at kun patienter med Gauchers sygdom type 1 behandles med Cerdelga, og at Cerdelga ikke bruges til patienter med leverproblemer eller sammen med medicin, der kan medføre en markant ændring af Cerdelgas niveau i blodet. Virksomheden skal desuden føre register over de patienter, der behandles med Cerdelga, for at undersøge lægemidlets langsigtede sikkerhed.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Cerdelga anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Cerdelga løbende overvåget. De indberettede bivirkninger ved Cerdelga vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Cerdelga

Cerdelga fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 19. januar 2015.

Yderligere information om Cerdelga findes på agenturets websted:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cerdelga.

Denne oversigt blev sidst ajourført i 11-2024.