



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/393107/2018
EMA/H/C/003724

Cerdelga (*eliglustat*)

Общ преглед на Cerdelga и защо е разрешен за употреба в ЕС

Какво представлява Cerdelga и за какво се използва?

Cerdelga е лекарство, което се използва за дългосрочно лечение на болестта на Гоше тип 1 при възрастни.

Болестта на Гоше е генетично заболяване, при което в организма се натрупва мазнина, наречена глюкозилцерамид (или глюкоцереброзид), обикновено в черния дроб, слезката и костите. Това причинява симптоми, като анемия (нисък брой на червените кръвни клетки), умора, лесно образуване на синини, уголемена слезка и черен дроб, костна болка и фрактури. Болестта се причинява от липсата на ензим за разграждане на мазнините.

Болестта на Гоше се счита за рядко заболяване и Cerdelga е определено като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 4 декември 2007 г. Допълнителна информация за „лекарства сираци“ можете да намерите тук: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Cerdelga съдържа активното вещество елиглулат (eliglustat).

Как се използва Cerdelga?

Cerdelga се предлага под формата на капсули (84 mg), които се приемат през устата. Преди да започне лечението, пациентът се тества, за да се установи колко бързо лекарството се разгражда в организма му. Пациентите, които разграждат лекарството с нормална скорост, приемат 1 капсула два пъти дневно, а тези, които разграждат лекарството бавно приемат 1 капсула веднъж дневно.

Пациентите, чиито тела разграждат това лекарство при много висока скорост („свръхбързи метаболитори“), не трябва да приемат Cerdelga. Пациентите, които не са били тествани или чиито резултати от теста не са ясни, също не трябва да приемат това лекарство.

Cerdelga се отпуска само по лекарско предписание и лечението трябва да бъде започнато и проследявано от лекар с опит в лечението на болестта на Гоше. За повече информация относно употребата на Cerdelga вижте листовката или се свържете с Вашия лекар или фармацевт.



Как действа Cerdelga?

Активното вещество в Cerdelga, елиглулат, действа чрез блокиране на действието на ензим, участващ в производството на мазнината глюкозилцерамид. Тъй като натрупването на тази мазнина в органи, като слезката, черния дроб и костите е причина за симптомите на болестта на Гоше тип 1, намаляването на нейното производство помага да се предотврати натрупването ѝ и по този начин помага на засегнатите органи да функционират по-добре.

Какви ползи от Cerdelga са установени в проучванията?

Проучванията показват, че Cerdelga е ефективен при лечението на болестта, включително намалява размера на уголемените слезка и черния дроб.

В проучване на 40 нелекувани преди това пациенти с болест на Гоше тип 1 пациентите, приемащи Cerdelga, показват 28% намаление на размера на слезката, в сравнение с 2% увеличение при тези, приемащи плацебо (сляпо лечение) след 9 месеца лечение. Пациентите, приемали Cerdelga, също показват подобрене на други признаци на заболяването, като намаляване на размера на черния дроб и повишаване на нивата на хемоглобина (протеина в червените кръвни клетки, който пренася кислород).

Друго проучване разглежда Cerdelga при 159 пациенти, чието заболяване е добре контролирано с ензимна заместителна терапия. В това проучване заболяването остава стабилно при 85% от пациентите, които преминават на Cerdelga за една година, и при 94% от пациентите, които продължават с ензим-заместваща терапия.

Какви са рисковете, свързани със Cerdelga?

Най-честата нежелана реакция, наблюдавана при Cerdelga, е диспепсия (киселини в стомаха) при приблизително 6 от 100 пациенти. Най-честата сериозна нежелана реакция е припадък при 8 от всеки 1 000 пациенти. По-голямата част от нежеланите реакции са леки и краткотрайни. За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции, съобщени при Cerdelga, вижте листовката.

Cerdelga не трябва да се приема от някои пациенти с чернодробни проблеми или такива, които приемат определени лекарства, които могат да повлияят на способността на организма да разгради лекарството. За пълния списък на ограниченията вижте листовката.

Защо Cerdelga е разрешен за употреба в ЕС?

Проучванията показват, че Cerdelga е ефективен при подобряване на симптомите на заболяването при по-голяма част от нелекуваните преди това пациенти с болест на Гоше тип 1 и при поддържане на болестта стабилна при повечето пациенти, лекувани преди това с ензим-заместваща терапия. Въпреки това малка част от пациентите (около 15%), които са преминали от ензим-заместваща терапия към прием на Cerdelga, не се повлияват оптимално след лечение в продължение на една година. За тези пациенти трябва да се обмислят други варианти за лечение. Всички пациенти, които преминават от ензим-заместваща терапия, трябва редовно да се наблюдават за прогресия на заболяването.

По отношение на безопасността, нежеланите реакции са предимно леки и преходни, но се препоръчва по-нататъшно проучване на дългосрочната безопасност на лекарството.

Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Cerdelga са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Cerdelga?

Фирмата, която предлага Cerdelga на пазара, ще предостави на лекарите и пациентите образователни материали, за да гарантира, че само пациенти с болест на Гоше тип 1 се лекуват със Cerdelga, и че Cerdelga не се използва при някои пациенти с чернодробни проблеми, както и заедно с други лекарства, които могат значително да променят нивата му в кръвта. На всички пациенти, на които е предписан Cerdelga, ще бъде предоставена сигнална карта за пациента. Всички медицински специалисти, от които се очаква да предписват Cerdelga, ще получат ръководство за предписване. Фирмата също така ще води регистър на пациентите, лекувани с Cerdelga, за да следи дългосрочната безопасност на лекарството.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Cerdelga, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Cerdelga непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Cerdelga, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Cerdelga

Cerdelga получава разрешение за употреба, валидно в ЕС, на 19 януари 2015 г.

Допълнителна информация за Cerdelga можете да намерите на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Дата на последно актуализиране на текста: 06-2018.