



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cerdelga (*eliglustat*)

Pregled informacija o lijeku Cerdelga i zašto je odobren u EU-u

Što je Cerdelga i za što se primjenjuje?

Cerdelga je lijek koji se koristi za dugoročno liječenje odraslih bolesnika s Gaucherovom bolesti tipa 1.

Gaucherova bolest tipa 1 nasljedno je stanje kod kojeg se mast koja se zove glukozilceramid (ili glukocerebrozid) nakuplja u tijelu, najčešće u jetri, slezeni i kostima. To uzrokuje simptome kao što su anemija (niski broj crvenih krvnih stanica), umor, lako stvaranje modrica, povećana slezena i jetra te bol u kostima i lomovi kostiju. Bolest je uzrokovana manjkom enzima koji razgrađuje mast.

Gaucherova bolest je rijetka bolest, a lijek Cerdelga dobio je status lijeka za rijetku bolest 4. prosinca 2007. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolesti možete pronaći ovdje: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Cerdelga sadrži djelatnu tvar eliglustat.

Kako se Cerdelga primjenjuje?

Lijek Cerdelga dostupan je u obliku kapsula (84 mg) koje se uzimaju kroz usta. Prije početka liječenja ispituje se kako brzo tijelo bolesnika razgrađuje lijek. Bolesnici koji razgrađuju lijek pri normalnoj brzini uzimaju 1 kapsulu dvaput dnevno, dok bolesnici koji sporo razgrađuju lijek uzimaju 1 kapsulu jedanput dnevno.

Bolesnici čija tijela razgrađuju ovaj lijek vrlo brzo („ultrabrzi metabolizatori“) ne bi trebali uzimati lijek Cerdelga. Bolesnici na kojima nije provedeno ispitivanje ili za koje rezultati ispitivanja nisu jasni također ne bi trebali uzimati ovaj lijek.

Lijek Cerdelga izdaje se samo na liječnički recept, a liječenje mora započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju Gaucherove bolesti. Za više informacija o primjeni lijeka Cerdelga pogledajte uputu o lijeku ili se obratite liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Cerdelga?

Eliglustat, djelatna tvar u lijeku Cerdelga, djeluje na način da blokira djelovanje enzima koji sudjeluje u proizvodnji glukozilceramida. Budući da je nakupljanje ove masti u organima kao što su slezena, jetra i



kosti odgovorno za simptome Gaucherove bolesti tipa 1, smanjivanjem proizvodnje te tvari pomaže se u sprječavanju njezina nakupljanja, a time i boljem radu zahvaćenih organa.

Koje su koristi od lijeka Cerdelga utvrđene u ispitivanjima?

Ispitivanja pokazuju da je lijek Cerdelga učinkovit u liječenju bolesti, uključujući smanjenje veličine povećane slezene i jetre.

U ispitivanju koje je obuhvaćalo 40 prethodno neliječenih bolesnika s Gaucherovom bolesti tipa 1 koji su uzimali lijek Cerdelga doživjelo je 28 %-tno smanjenje veličine slezene u usporedbi s 2 %-tnim povećanjem u bolesnika koji su uzimali placebo (prividno liječenje) nakon 9 mjeseci liječenja. U bolesnika koji su uzimali lijek Cerdelga uočeno je poboljšanje ostalih znakova bolesti, kao što su smanjenje veličine jetre i povećane razine hemoglobina (proteina u crvenim krvnim stanicama koji nosi kisik).

U okviru drugog ispitivanja promatrano je 159 bolesnika koji su uzimali lijek Cerdelga, a čija je bolest dobro kontrolirana enzimskom nadomjesnom terapijom. U ovom ispitivanju bolest je ostala stabilna u 85 % bolesnika koji su prebačeni na liječenje lijekom Cerdelga tijekom jedne godine te u 94 % bolesnika koji su nastavili s enzimskom nadomjesnom terapijom.

Koji su rizici povezani s lijekom Cerdelga?

Najčešće nuspojave uočene kod uzimanja lijeka Cerdelga jesu dispepsija (žgaravica) u otprilike 6 na 100 bolesnika. Najčešća ozbiljna nuspojava jest nesvjestica, koja se pojavljuje u 8 na svakih 1 000 bolesnika. Nuspojave su većinom blage i kratkotrajne. Potpuni popis nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Cerdelga potražite u uputi o lijeku.

Lijek Cerdelga ne smiju uzimati neki bolesnici s problemima s jetrom ili bolesnici koji uzimaju određene lijekove koji mogu utjecati na sposobnost tijela da razgrađuje lijek. Potpuni popis ograničenja vezanih uz primjenu potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Cerdelga odobren u EU-u?

Ispitivanja pokazuju da je lijek Cerdelga učinkovit u poboljšanju simptoma bolesti kod većine prethodno neliječenih bolesnika s Gaucherovom bolesti tipa 1 te u održavanju stabilnosti bolesti u većini bolesnika prethodno liječenih enzimskom nadomjesnom terapijom. Međutim, manji dio bolesnika (oko 15 %) koji su prebačeni s enzimске nadomjesne terapije na liječenje lijekom Cerdelga nije dobro reagiralo nakon liječenja tijekom jedne godine. Za ove bolesnike potrebno je razmotriti druge mogućnosti liječenja. Bolesnike koji su prebačeni s enzimске nadomjesne terapije potrebno je pratiti zbog moguće progresije bolesti.

Što se tiče sigurnosti, nuspojave su najčešće blage i prijelazne, ali preporučeno je daljnje istraživanje dugoročne sigurnosti lijeka.

Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Cerdelga nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u Europskoj uniji.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Cerdelga?

Tvrtka koja stavlja lijek Cerdelga u promet dostavit će edukacijske materijale liječnicima i bolesnicima kako bi zajamčila da se samo bolesnici s Gaucherovom bolesti tipa 1 liječe lijekom Cerdelga i da se lijek Cerdelga ne primjenjuje u nekih bolesnika s problemima s jetrom te zajedno s drugim lijekovima koji mogu značajno promijeniti koncentracije u krvi. Svi bolesnici kojima se propisuje lijek Cerdelga dobit će

karticu s upozorenjima za bolesnika. Svim zdravstvenim radnicima za koje se očekuje da će propisivati lijek Cerdelga bit će dostavljen vodič za zdravstvene radnike. Tvrtka će također voditi evidenciju o bolesnicima liječenim lijekom Cerdelga radi ispitivanja dugoročne sigurnosti lijeka.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Cerdelga nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Cerdelga kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Cerdelga pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Cerdelga

Lijek Cerdelga dobio je odobrenje za stavljanje lijeka u promet koje je na snazi u EU-u od 19. siječnja 2015.

Više informacija o lijeku Cerdelga nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Sažetak je posljednji put ažuriran u 06. 2018.