



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cerdelga (*eliglusztát*)

A Cerdelga nevű gyógyszer áttekintése valamint annak indoklás, hogy miért engedélyezték az EU-ban

Milyen típusú gyógyszer a Cerdelga és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Cerdelga egy olyan gyógyszer, amely a felnőttkori 1. típusú Gaucher-kór kezelésében használt.

A Gaucher-kór egy genetikai állapot, amelyben a glükoszilceramid (vagy glükocerebrozid) nevű zsír épül fel a szervezetben, tipikusan a májban, a lépben és a csontokban. Az olyan tüneteket okoz, mint az anémia (alacsony vörösvérsejt-szám), fáradtság, sérülékenység, megnagyobbodott lép és máj valamint csontfájdalom és -törések. A betegséget a zsírokat lebontó enzim hiánya okozza.

Mivel a Gaucher-kór ritkának minősül, ezért a Cerdelg-t 2007. december 4-én „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

A Cerdelga hatóanyaga az eliglusztát.

Hogyan kell alkalmazni a Cerdelga-t?

A Cerdelga szájon át adandó kapszulák (84 mg) formájában kapható. A kezelés megkezdése előtt a betegeket tesztelni kell, hogy milyen gyorsan bontja le a szervezetük a gyógyszert. Azok a betegek, akiknek a szervezete normális sebességgel bontja le a gyógyszert, naponta 1 kapszulát vesznek be, míg azok, akiknél a gyógyszer lassabban bomlik le, napi 1 kapszulát vesznek be.

Azok a betegek („az ultragyorsan metabolizálók”), akiknek a szervezete nagyon gyorsan lebontja a gyógyszert, ne szedjenek Cerdelga-t. Azok a betegek, akik nem lettek letesztelve, vagy, akiknek nem egyértelmű a tesztjük, szintén ne szedjék a gyógyszert.

A Cerdelga csak receptre kapható, a kezelést pedig kizárólag az Gaucher-kór kezelésében jártas szakorvos kezdheti meg és felügyelheti. További információért a Cerdelga alkalmazásáról olvassa el a betegájékoztatót vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.



Hogyan fejti ki hatását a Cerdelga?

A Cerdelga hatóanyaga, az eliglusztát, akképp működik, hogy gátolja a glükoszilceramid zsír termelődésében érintett enzim hatását. Lévén az 1-es típusú Gaucher-kór tüneteieért ennek a zsírnak a felhalmozódása felelős az olyan szervekben, mint a lép, a máj vagy a csontok, termelődésének akadályozása segíti megakadályozni a felhalmozódását, s így az érintett szervek jobban funkcionálhatnak.

Milyen előnyei voltak a Cerdelga alkalmazásának a vizsgálatok során?

A vizsgálatok kimutatták, hogy a Cerdelga hatékony a kór kezelésében, beleértve a megnagyobbodott lép és máj csökkentésében.

Egy 40 fős vizsgálatban, korábban nem kezelt 1. típusú Gaucher-kórban szenvedőknél a Cerdelga szedését követően 28%-kal csökkent a lép mérete a placebót szedők (hatóanyag nélküli kezelés) 2%-os csökkenéséhez képest a kezelés 9 hónapja alatt. A Cerdelga-t szedő betegek továbbá javulást mutattak a betegség egyéb jelei tekintetében is, mint a májméret csökkenése valamint a hemoglobinn (a vörös vérszövetek fehérjéje, mely az oxigént szállítja) megnövekedett szintje.

Egy másik vizsgálat 159 betegnél vizsgálta a Cerdelga-t, akiknél a kórt egy enzimpótló terápiával tartották kordában. Ebben a vizsgálatban a kór a betegek 85%-ánál maradt fenn stabilan, amennyiben egy évig Cerdelga-ra váltottak, valamint 94%-uknál, akik az enzimpótló terápiát folytatták.

Milyen kockázatokkal jár a Cerdelga alkalmazása?

A Cerdelga leggyakoribb mellékhatása, a diszpepszia (gyomorégés) 100 betegből körülbelül 6 esetében volt megfigyelhető. A leggyakoribb, súlyos mellékhatás, az ájulás pedig 1000 betegből 8 esetében. A mellékhatások többsége enyhe és rövid ideig tart. A Cerdelga alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Cerdelga nem szedhető májproblémával élő betegek esetében, vagy azoknál, akik olyan gyógyszereket szednek, melyek csökkentik a test képességét, hogy lebontsa a gyógyszert. A korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Cerdelga forgalomba hozatalát az EU-ban?

A vizsgálatok során a Cerdelga hatékonynak bizonyult a kór legtöbb tüneteinek enyhítésében a korábban nem kezelt 1. típusú Gaucher-kórban szenvedők körében, valamint a kór stabilizálásában olyan betegeknél is, akiket korábban enzimpótlással kezelték. Ugyanakkor a betegek kisebb hányadában (körülbelül 15%), akik enzimpótlásról Cerdelga-ra váltottak, nem reagáltak megfelelően a kezelésre az egy év ideje alatt. Ezeknél a betegeknél más kezelési módokat kell figyelembe venni. Minden betegnél figyelemmel kell kísérni a betegség előrehaladását, amennyiben váltanak az enzimpótlásról.

A biztonsággal kapcsolatban: a mellékhatások enyhék és múlékonyak voltak, azonban ajánlott a gyógyszer hosszútávú biztonságának további vizsgálata.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Cerdelga alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Cerdelga biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A a Cerdelga-t forgalmazó vállalat ismeretterjesztő anyagokkal látja el az orvosokat és a betegeket, annak biztosítása érdekében, hogy kizárólag az 1-es típusú Gaucher-kórban szenvedőknél alkalmazzák a Cerdelga-t, valamint, hogy a Cerdelga-t nem alkalmazzák más olyan betegeknél, akiknek májpanaszai vannak, és más olyan gyógyszerekkel együtt, amelyek lényegesen megváltoztatják a gyógyszer szintjét a vérben. Minden beteg, akinek Cerdelga-t írnak fel, egy betegfigyelmeztető kártyát kap. Minden egészségügyi dolgozó, akik várhatóan Cerdelga-t fognak felírni, egy felíróknak szánt útmutatót kap. A vállalat továbbá nyilvántartást fog vezetni a Cerdelga-val kezelt betegekről a gyógyszer hosszútávú biztonságának vizsgálata érdekében.

A Cerdelga biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Cerdelga alkalmazása során jelentkező információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. A Cerdelga alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Cerdelga-val kapcsolatos egyéb információ

2015. január 19-én a Cerdelga megkapta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

További információ a Cerdelga gyógyszerről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 06-2018.