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

Cerdelga (*eliglustato*)

Um resumo sobre Cerdelga e porque está autorizado na UE

O que é Cerdelga e para que é utilizado?

Cerdelga é um medicamento utilizado no tratamento de longo prazo da doença de Gaucher de tipo 1 em adultos.

A doença de Gaucher é uma doença genética na qual uma gordura denominada glicosilceramida (ou glicocerebrosídeo) se acumula no organismo, geralmente no fígado, no baço e nos ossos. Isto provoca sintomas como anemia (contagens baixas de glóbulos vermelhos), cansaço, hematomas de surgimento fácil, aumento do volume do baço e do fígado, e dor e fraturas nos ossos. A doença é causada pela falta de uma enzima para degradar a gordura.

A doença de Gaucher é uma doença rara, e Cerdelga foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 4 de dezembro de 2007. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Cerdelga contém a substância ativa eliglustato.

Como se utiliza Cerdelga?

Cerdelga está disponível na forma de cápsulas (84 mg) para tomar por via oral. Antes de iniciar o tratamento, o doente é testado para verificar a rapidez com que o seu organismo degrada o medicamento. Os doentes que degradam o medicamento a uma velocidade normal tomam 1 cápsula duas vezes por dia, enquanto os doentes que degradam o medicamento lentamente tomam 1 cápsula uma vez por dia.

Os doentes cujos organismos degradam este medicamento muito rapidamente («metabolizadores ultrarrápidos») não devem tomar Cerdelga. Os doentes que não foram testados ou cujos resultados do teste não são claros também não devem tomar este medicamento.

Cerdelga só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento da doença de Gaucher. Para mais informações sobre a utilização de Cerdelga, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

30 Churchill Place ● Canary Wharf ● London E14 5EU ● United Kingdom
Telephone +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555
Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union

© European Medicines Agency, 2018. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Como funciona Cerdelga?

A substância ativa de Cerdelga, o eliglustato, atua bloqueando a ação de uma enzima envolvida na produção da gordura glicosilceramida. Dado que a acumulação desta gordura em órgãos como o baço, o fígado e os ossos é responsável pelos sintomas da doença de Gaucher de tipo 1, reduzir a produção de glicosilceramida contribui para evitar a sua acumulação, ajudando assim os órgãos afetados a funcionarem melhor.

Quais os benefícios demonstrados por Cerdelga durante os estudos?

Os estudos demonstram que Cerdelga é eficaz no tratamento da doença, incluindo na redução de baços e fígados aumentados.

Num estudo realizado em 40 doentes com doença de Gaucher de tipo 1 não tratados anteriormente, os doentes que tomaram Cerdelga apresentaram uma redução de 28 % no tamanho do baço, em comparação com um aumento de 2 % nos doentes que tomaram o placebo (um tratamento simulado) após 9 meses de tratamento. Os doentes que tomaram Cerdelga apresentaram igualmente uma melhoria de outros sinais da doença, tais como uma redução do tamanho do fígado e um aumento dos níveis de hemoglobina (a proteína nos glóbulos vermelhos que transporta o oxigénio).

Outro estudo analisou Cerdelga em 159 doentes cuja doença estava bem controlada por terapêutica de substituição enzimática. Neste estudo, a doença manteve-se estável em 85 % dos doentes que mudaram para Cerdelga durante um ano e em 94 % dos doentes que continuaram a terapêutica de substituição enzimática.

Quais são os riscos associados a Cerdelga?

O efeito secundário mais frequente observado com Cerdelga é a dispepsia (azia), em cerca de 6 em cada 100 doentes. O efeito secundário grave mais frequente é o desmaio, em 8 em cada 1000 doentes. Os efeitos secundários são, na sua maioria, ligeiros e de curta duração. Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente a Cerdelga, consulte o Folheto Informativo.

Cerdelga não deve ser tomado por alguns doentes com problemas no fígado ou que tomem determinados medicamentos que possam interferir com a capacidade do organismo para degradar o medicamento. Para a lista completa de restrições de utilização, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Cerdelga autorizado na UE?

Os estudos demonstram que Cerdelga é eficaz na melhoria dos sintomas da doença na maioria dos doentes com doença de Gaucher de tipo 1 não tratados anteriormente e em manter a doença estável na maioria dos doentes tratados anteriormente com substituição enzimática. Contudo, uma minoria de doentes (cerca de 15 %) que mudou da substituição enzimática para Cerdelga não apresentou uma resposta ideal após um ano de tratamento. Para estes doentes, devem ser consideradas outras opções de tratamento. Todos os doentes que mudam da substituição enzimática para Cerdelga devem ser regularmente monitorizados quanto à progressão da doença.

Relativamente à segurança, os efeitos secundários foram sobretudo ligeiros e temporários, mas recomendou-se que a segurança a longo prazo do medicamento fosse alvo de investigação adicional.

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Cerdelga são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Cerdelga?

A empresa que comercializa Cerdelga fornecerá aos médicos e aos doentes materiais educacionais para garantir que apenas os doentes com doença de Gaucher de tipo 1 são tratados com Cerdelga e que este não é utilizado em alguns doentes com problemas no fígado e em associação com outros medicamentos que possam alterar significativamente os seus níveis no sangue. Todos os doentes a quem seja receitado Cerdelga receberão um cartão de alerta do doente. Todos os profissionais de saúde que se prevê venham a receitar Cerdelga receberão um guia para o prescritor. A empresa irá também manter um registo dos doentes tratados com Cerdelga para analisar a segurança do medicamento a longo prazo.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Cerdelga.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Cerdelga são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Cerdelga são cuidadosamente avaliados e são tomadas todas as medidas necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Cerdelga

Em 19 de janeiro de 2015, Cerdelga recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a UE.

Mais informações sobre Cerdelga podem ser encontradas no sítio da internet da Agência: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 06-2018.