



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/4120/2025
EMA/H/C/003724

Cerdelga (ελιγλουστάτη)

Ανασκόπηση του Cerdelga και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Cerdelga και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Cerdelga είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη μακροχρόνια θεραπεία της νόσου Gaucher τύπου 1 σε ενήλικες και σε παιδιά ηλικίας 6 ετών και άνω, βάρους τουλάχιστον 15 kg, των οποίων η νόσος ελέγχεται επαρκώς με θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης (ERT).

Η νόσος Gaucher είναι γενετική πάθηση κατά την οποία ένα λιπίδιο που ονομάζεται γλυκοσυλκεραμίδιο (ή γλυκοκερεβροσίδιο) συσσωρεύεται στον οργανισμό, συνήθως στο ήπαρ, στον σπλήνα και στα οστά. Αυτό προκαλεί συμπτώματα όπως αναιμία (χαμηλά επίπεδα ερυθρών αιμοσφαιρίων), κόπωση, εύκολη δημιουργία μωλώπων, διόγκωση του σπλήνα και του ήπατος, πόνο στα οστά και κατάγματα. Η νόσος προκαλείται από την έλλειψη ενός ενζύμου που ευθύνεται για τη διάσπαση του λιπιδίου.

Η νόσος Gaucher είναι σπάνια και το Cerdelga έχει χαρακτηριστεί «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 4 Δεκεμβρίου 2007. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε [στον δικτυακό τόπο](#) του EMA.

Το Cerdelga περιέχει τη δραστική ουσία ελιγλουστάτη.

Πώς χρησιμοποιείται το Cerdelga;

Το Cerdelga μπορεί να χορηγηθεί μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη και η επίβλεψη της θεραπείας θα πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με εμπειρία στη διαχείριση της νόσου Gaucher.

Το Cerdelga διατίθεται σε μορφή καψακίων που λαμβάνονται από το στόμα. Δεν πρέπει να λαμβάνεται σε συνδυασμό με γκρέιπφρουτ ή τον χυμό του. Για να λάβουν θεραπεία με Cerdelga, τα παιδιά πρέπει να είναι σε θέση να καταπιούν τα καψάκια. Πριν από την έναρξη της θεραπείας, ο ασθενής υποβάλλεται σε εξέταση για να προσδιορισθεί η ταχύτητα με την οποία διασπάται το φάρμακο στον οργανισμό του. Οι ενήλικες ασθενείς των οποίων ο οργανισμός διασπά το φάρμακο με φυσιολογική ταχύτητα λαμβάνουν 1 καψάκιο δύο φορές την ημέρα, ενώ οι ασθενείς των οποίων ο οργανισμός διασπά το φάρμακο αργά λαμβάνουν 1 καψάκιο μία φορά την ημέρα. Τα παιδιά των οποίων ο οργανισμός διασπά το φάρμακο με φυσιολογική ταχύτητα λαμβάνουν 2 καψάκια δύο φορές την ημέρα, ενώ εκείνα των οποίων ο οργανισμός διασπά το φάρμακο αργά λαμβάνουν 1 καψάκιο μία φορά την ημέρα.



Οι ασθενείς των οποίων ο οργανισμός διασπά αυτό το φάρμακο πολύ γρήγορα (ασθενείς με «υπερταχεία μεταβολική ικανότητα») δεν πρέπει να λαμβάνουν Cerdelga. Επίσης, ασθενείς που δεν έχουν υποβληθεί σε εξέταση ή των οποίων τα αποτελέσματα της εξέτασης δεν είναι σαφή δεν πρέπει να λαμβάνουν αυτό το φάρμακο.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Cerdelga, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Cerdelga;

Η δραστική ουσία του Cerdelga, η ελιγλουστάτη, δρα αναστέλλοντας τη δράση ενός ενζύμου που συμμετέχει στην παραγωγή του λιπιδίου γλυκοσυλκεραμίδιο. Επειδή η συσσώρευση του εν λόγω λιπιδίου σε όργανα όπως ο σπλήνας, το ήπαρ και τα οστά προκαλεί τα συμπτώματα της νόσου Gaucher τύπου 1, η μείωση της παραγωγής του συμβάλλει στην πρόληψη της συσσώρευσης, επιτρέποντας κατ' αυτόν τον τρόπο την καλύτερη λειτουργία των προσβληθέντων οργάνων.

Ποια είναι τα οφέλη του Cerdelga σύμφωνα με τις μελέτες;

Από μελέτες προκύπτει ότι το Cerdelga είναι αποτελεσματικό στη θεραπεία της νόσου Gaucher τύπου 1, συμπεριλαμβανομένης της μείωσης του μεγέθους του διευρυμένου σπλήνα και του ήπατος.

Σε μια μελέτη στην οποία μετείχαν 40 ασθενείς που δεν είχαν λάβει κατά το παρελθόν θεραπεία για τη νόσο Gaucher τύπου 1, οι ασθενείς που έλαβαν Cerdelga παρουσίασαν μετά από 9 μήνες θεραπείας μείωση του μεγέθους του σπλήνα κατά 28%, σε σύγκριση με αύξηση του μεγέθους του σπλήνα κατά 2% για τους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Οι ασθενείς που έλαβαν Cerdelga παρουσίασαν επίσης βελτίωση σε άλλες ενδείξεις της νόσου, όπως μείωση του μεγέθους του ήπατος και αυξημένα επίπεδα αιμοσφαιρίνης (της πρωτεΐνης των ερυθρών αιμοσφαιρίων που μεταφέρει οξυγόνο).

Μια άλλη μελέτη εξέτασε την επίδραση του Cerdelga σε 159 ασθενείς των οποίων η νόσος ήταν επαρκώς ελεγχόμενη με τη χορήγηση θεραπείας ενζυμικής υποκατάστασης. Σε αυτήν τη μελέτη, η νόσος παρέμεινε σταθερή στο 85% των ασθενών που άλλαξαν θεραπεία και έλαβαν Cerdelga για ένα έτος, καθώς και στο 94% των ασθενών που συνέχισαν τη θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης.

Μια περαιτέρω μελέτη σε 51 παιδιά ηλικίας 2 έως 17 ετών με νόσο Gaucher τύπου 1 και τύπου 3 έδειξε ότι το Cerdelga αναμένεται να δράσει στα παιδιά με παρόμοιο τρόπο όπως και στους ενήλικες.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Cerdelga;

Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που έχουν αναφερθεί με το Cerdelga, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Η πιο συχνή ανεπιθύμητη ενέργεια με το Cerdelga είναι η δυσπεψία (καούρα), η οποία μπορεί να επηρεάσει έως και 1 στους 10 ενήλικες και περισσότερα από 1 στα 10 παιδιά.

Το Cerdelga δεν πρέπει να λαμβάνεται από ορισμένους ασθενείς με ηπατικά προβλήματα ή από ασθενείς που λαμβάνουν συγκεκριμένα φάρμακα που μπορούν να επηρεάσουν την ικανότητα του οργανισμού να διασπάσει το φάρμακο.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Cerdelga στην ΕΕ;

Από τις μελέτες προκύπτει ότι το Cerdelga είναι αποτελεσματικό όσον αφορά τη βελτίωση των συμπτωμάτων της νόσου Gaucher τύπου 1 στην πλειονότητα των ενηλίκων που δεν είχαν υποβληθεί σε

προηγούμενη θεραπεία, καθώς και όσον αφορά τη διατήρηση της σταθερότητας της νόσου στην πλειοψηφία των ενηλίκων που είχαν υποβληθεί στο παρελθόν σε θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης (ERT). Ωστόσο, μια μειοψηφία ασθενών (περίπου 15%) που μετέβησαν από την ERT στο Cerdelga δεν ανταποκρίθηκαν βέλτιστα μετά από θεραπεία ενός έτους. Για τους εν λόγω ασθενείς θα πρέπει να εξεταστούν και άλλες θεραπευτικές επιλογές. Όλοι οι ασθενείς που μεταβαίνουν από την ERT στο Cerdelga θα πρέπει να παρακολουθούνται τακτικά για εξέλιξη της νόσου.

Όσον αφορά την ασφάλεια, οι ανεπιθύμητες ενέργειες ήταν ως επί το πλείστον ήπιες και σύντομης διάρκειας. Ωστόσο, η εταιρεία που εμπορεύεται το Cerdelga πρέπει να διερευνήσει περαιτέρω τη μακροχρόνια ασφάλεια του φαρμάκου.

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Cerdelga υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Cerdelga;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Cerdelga θα παράσχει στους γιατρούς που αναμένεται να συνταγογραφήσουν το φάρμακο έναν οδηγό συνταγογράφησης, στους δε ασθενείς στους οποίους συνταγογραφείται το φάρμακο, θα παράσχει μια κάρτα ασθενούς. Αυτό το εκπαιδευτικό υλικό θα βοηθήσει να διασφαλιστεί ότι μόνο οι ασθενείς με νόσο Gaucher τύπου 1 υποβάλλονται σε θεραπεία με Cerdelga και ότι το Cerdelga δεν χρησιμοποιείται σε ορισμένους ασθενείς με ηπατικά προβλήματα ούτε χρησιμοποιείται σε συνδυασμό με φάρμακα που μπορούν να μεταβάλουν σημαντικά τα επίπεδα του Cerdelga στο αίμα. Η εταιρεία θα τηρεί επίσης αρχείο των ασθενών που έλαβαν θεραπεία με Cerdelga προκειμένου να εξετάσει τη μακροχρόνια ασφάλεια του φαρμάκου.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Cerdelga.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Cerdelga τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που επισημαίνονται με το Cerdelga αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Cerdelga

Στις 19 Ιανουαρίου 2015 χορηγήθηκε στο Cerdelga άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την ΕΕ.

Περισσότερες πληροφορίες για το Cerdelga διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cerdelga.

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 11-2024.