



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cerdelga (*eliglustatum*)

Přehled pro přípravek Cerdelga a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Cerdelga a k čemu se používá?

Cerdelga je léčivý přípravek užívaný k dlouhodobé léčbě Gaucherovy choroby typu 1 u dospělých pacientů.

Gaucherova choroba je genetické onemocnění, při němž se v těle, zejména v játrech, slezině a kostech, hromadí lipid zvaný glukosylceramid (nebo glukocerebrosid). To způsobuje příznaky, jako jsou anémie (nízký počet červených krvinek), únava, snadná tvorba modřin, zvětšení sleziny a jater a bolest kostí a zlomeniny. Onemocnění je způsobeno nedostatkem enzymu, který tento lipid odbourává.

Gaucherova choroba je vzácné onemocnění a přípravek Cerdelga byl stanoven dne 4. července 2007 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Více informací o postupu stanovení léčivých přípravků pro vzácná onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Přípravek Cerdelga obsahuje léčivou látku eliglustat.

Jak se přípravek Cerdelga používá?

Přípravek Cerdelga je dostupný ve formě tobolek (84 mg) a užívá se ústy. Před zahájením léčby se u pacienta testuje rychlost odbourávání léčivého přípravku v těle. Pacienti, kteří odbourávají léčivý přípravek normální rychlostí, užívají 1 tobolku dvakrát denně, zatímco pacienti odbourávající léčivý přípravek pomalu užívají 1 tobolku jednou denně.

Pacienti, jejichž těla odbourávají léčivý přípravek velmi rychle („ultrarychlí metabolizátoři“), by přípravek Cerdelga neměli užívat. Tento léčivý přípravek by dále neměli užívat pacienti, u kterých nebylo toto testování provedeno nebo u nichž není výsledek testu jasný.

Výdej přípravku Cerdelga je vázán na lékařský předpis a léčbu by měl zahájit i sledovat lékař, který má zkušenosti s léčbou Gaucherovy choroby. Více informací o používání přípravku Cerdelga naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.



Jak přípravek Cerdelga působí?

Léčivá látka v přípravku Cerdelga, eliglustat, působí na principu blokády působení enzymu, který se účastní produkce glukosylceramidu. Jelikož za rozvoj symptomů Gaucherovy choroby typu 1 je zodpovědné hromadění tohoto tuku v orgánech, jako jsou slezina, játra a kosti, omezení produkce tohoto tuku zabraňuje jeho hromadění a napomáhá tak postiženým orgánům lépe fungovat.

Jaké přínosy přípravku Cerdelga byly prokázány v průběhu studií?

Studie prokázaly, že přípravek Cerdelga je v léčbě onemocnění účinný, včetně snížení velikosti zvětšené sleziny a jater.

Ve studii u 40 dosud neléčených pacientů s Gaucherovou chorobou typu 1 došlo po 9 měsících léčby u pacientů užívajících přípravek Cerdelga ke snížení velikosti sleziny o 28 % oproti zvětšení o 2 % u pacientů užívajících placebo (neúčinný přípravek). U pacientů, kteří užívali přípravek Cerdelga, došlo také ke zlepšení dalších příznaků onemocnění, například ke snížení velikosti jater a zvýšení hladiny hemoglobinu (bílkoviny v červených krvinkách, která přenáší kyslík).

Další studie zkoumala přípravek Cerdelga u 159 pacientů, u nichž bylo onemocnění dobře kontrolováno suplementací enzymů. V této studii onemocnění zůstalo stabilní u 85 % pacientů, kteří byli na rok převedeni na přípravek Cerdelga, a u 94 % pacientů, kteří pokračovali v suplementaci enzymů.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Cerdelga?

Nejčastějším nežádoucím účinkem přípravku Cerdelga je dyspepsie (pálení žáhy) u přibližně 6 pacientů ze 100. Nejčastějším závažným nežádoucím účinkem jsou mdloby, u 8 pacientů z 1 000. Většina nežádoucích účinků je mírná a krátkodobá. Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Cerdelga je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Cerdelga nesmějí užívat někteří pacienti s poruchami jater nebo pacienti užívající určité léčivé přípravky, které mohou ovlivňovat schopnost těla odbourávat léčivý přípravek. Úplný seznam omezení je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Cerdelga registrován v EU?

Studie ukazují, že přípravek Cerdelga je účinný při zlepšování příznaků onemocnění u většiny dosud neléčených pacientů s Gaucherovou chorobou typu 1 a při udržování stabilního onemocnění u většiny pacientů dosud léčených suplementací enzymů. Menšina pacientů (přibližně 15 %), kteří byli ze suplementace enzymů převedeni na přípravek Cerdelga, nicméně po roce léčby nedosáhla optimální odpovědi. U těchto pacientů by měly být zváženy jiné možnosti léčby. U všech pacientů převedených ze suplementace enzymů by měla být pravidelně monitorována progresa onemocnění.

Co se týče bezpečnosti, většina nežádoucích účinků byla mírná a přechodná, ale doporučuje se další sledování dlouhodobé bezpečnosti léčivého přípravku.

Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Cerdelga převyšují jeho rizika a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Cerdelga?

Společnost, která přípravek Cerdelga dodává na trh, poskytne lékařům i pacientům vzdělávací materiály s cílem zajistit, aby přípravkem Cerdelga byli léčeni pouze pacienti s Gaucherovou chorobou typu 1

a aby přípravek Cerdelga nebyl užíván u některých pacientů s poruchami jater a spolu s dalšími léčivými přípravky, které mohou významně měnit jeho hladinu v krvi. Všichni pacienti, kterým je přípravek Cerdelga předepsán, obdrží kartu pacienta s varováním. Všem zdravotnickým pracovníkům, u kterých se očekává, že by přípravek Cerdelga mohli předepisovat, bude poskytnut pokyn pro předepisujícího lékaře. Společnost také povede záznamy pacientů léčených přípravkem Cerdelga s cílem zhodnotit dlouhodobou bezpečnost léčivého přípravku.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Cerdelga, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Cerdelga průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Cerdelga jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Cerdelga

Přípravek Cerdelga obdržel rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 19. ledna 2015.

Další informace k přípravku Cerdelga jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 06-2018.