



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Cerdelga (*Eliglustat*)

### Übersicht über Cerdelga und Begründung für die Zulassung in der EU

#### Was ist Cerdelga und wofür wird es angewendet?

Cerdelga ist ein Arzneimittel, das zur Langzeitbehandlung erwachsener Patienten mit Morbus Gaucher Typ 1 angewendet wird.

Morbus Gaucher ist eine genetische Erkrankung, bei der sich ein Fett namens Glucosylceramid (oder Glucocerebroside) im Körper ansammelt, und zwar typischerweise in der Leber, der Milz und den Knochen. Dies führt zu Symptomen wie Anämie (verminderte Anzahl roter Blutkörperchen), Müdigkeit, häufigen Blutergüssen, einer vergrößerten Milz und Leber sowie Knochenschmerzen und Knochenbrüchen. Die Erkrankung wird durch einen Mangel eines für den Fettabbau zuständigen Enzyms verursacht.

Morbus Gaucher ist „selten“, und Cerdelga wurde am 4. Dezember 2007 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden sich hier: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Cerdelga enthält den Wirkstoff Eliglustat.

#### Wie wird Cerdelga angewendet?

Cerdelga ist als Kapseln (84 mg) zum Einnehmen erhältlich. Vor Beginn der Behandlung ist zu testen, wie schnell das Arzneimittel im Körper des Patienten abgebaut wird. Patienten, die das Arzneimittel mit normaler Geschwindigkeit abbauen, nehmen 1 Kapsel zweimal täglich ein; Patienten, die das Arzneimittel langsam abbauen, nehmen 1 Kapsel einmal täglich ein.

Patienten, deren Körper dieses Arzneimittel mit sehr hoher Geschwindigkeit abbaut („ultraschnelle Metabolisierer“), sollten Cerdelga nicht einnehmen. Patienten, die nicht getestet wurden oder deren Testergebnisse nicht eindeutig sind, sollten dieses Arzneimittel ebenfalls nicht einnehmen.

Cerdelga ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem Arzt, der Erfahrung in der Behandlung von Morbus Gaucher besitzt, eingeleitet und überwacht werden. Weitere Informationen zur Anwendung von Cerdelga entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.



## Wie wirkt Cerdelga?

Der Wirkstoff in Cerdelga, Eliglustat, wirkt durch Hemmung der Aktivität eines Enzyms, das eine Rolle bei der Bildung des Glucosylceramid-Fetts spielt. Da die Ansammlung dieses Fetts in Organen wie der Milz, der Leber und den Knochen für die Symptome von Morbus Gaucher Typ 1 verantwortlich ist, verhindert die Verminderung von dessen Bildung dessen Ansammlung und sorgt somit für eine bessere Funktion der betroffenen Organe.

## Welchen Nutzen hat Cerdelga in den Studien gezeigt?

In Studien wurde gezeigt, dass Cerdelga die Erkrankung wirksam behandelt, einschließlich der Reduzierung einer vergrößerten Milz oder Leber.

In einer Studie, an der 40 zuvor unbehandelte Patienten mit Morbus Gaucher Typ 1 teilnahmen, wiesen nach 9-monatiger Behandlung Patienten, die Cerdelga einnahmen, eine Verkleinerung der Milz von 28 % auf, verglichen mit einer Vergrößerung der Milz von 2 % bei Patienten, die Placebo (eine Scheinbehandlung) einnahmen. Patienten, die Cerdelga erhielten, zeigten außerdem eine Besserung weiterer Krankheitssymptome, wie Verkleinerung der Leber und erhöhte Spiegel von Hämoglobin (das Protein in roten Blutkörperchen, das Sauerstoff transportiert).

In einer weiteren Studie wurde die Anwendung von Cerdelga bei 159 Patienten untersucht, deren Erkrankung durch eine Enzymersatztherapie gut unter Kontrolle gehalten wurde. In dieser Studie blieb die Erkrankung bei 85 % der Patienten, die ein Jahr lang auf Cerdelga umgestellt wurden, sowie bei 94 % der Patienten, die weiter eine Enzymersatztherapie erhielten, stabil.

## Welche Risiken sind mit Cerdelga verbunden?

Die häufigste Nebenwirkung von Cerdelga ist Dyspepsie (Sodbrennen) bei etwa 6 von 100 Patienten. Die häufigste schwerwiegende Nebenwirkung ist Ohnmacht bei 8 von 1 000 Patienten. Die Mehrzahl der Nebenwirkungen ist von leichter oder vorübergehender Natur. Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Cerdelga berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Cerdelga darf von einigen Patienten mit Leberproblemen oder Patienten, die gewisse Arzneimittel einnehmen, die die Fähigkeit des Körpers zum Abbau des Arzneimittels stören können, nicht eingenommen werden. Die vollständige Auflistung der Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

## Warum wurde Cerdelga in der EU zugelassen?

Cerdelga hat sich in Studien als wirksam zur Linderung der Krankheitssymptome bei der Mehrzahl der zuvor unbehandelten Patienten mit Morbus Gaucher Typ 1 sowie als wirksam zur Stabilisierung der Krankheit bei den meisten der zuvor mit einer Enzymersatztherapie behandelten Patienten erwiesen. Allerdings zeigte ein kleiner Teil der Patienten (etwa 15 %), die von einer Enzymersatztherapie auf Cerdelga umgestellt wurden, nach einer Behandlungsdauer von einem Jahr kein optimales Ansprechen. Für diese Patienten sollten andere Behandlungsoptionen in Erwägung gezogen werden. Alle Patienten, die von einer Enzymersatztherapie umgestellt werden, sollten regelmäßig hinsichtlich eines Fortschreitens der Krankheit überwacht werden.

In Bezug auf die Sicherheit waren die meisten Nebenwirkungen leichter und vorübergehender Natur; es wurde dennoch eine weitere Untersuchung der Langzeitsicherheit des Arzneimittels empfohlen.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Cerdelga gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

## **Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Cerdelga ergriffen?**

Das Unternehmen, das Cerdelga in Verkehr bringt, wird Ärzten und Patienten Informationsmaterial bereitstellen, um sicherzustellen, dass ausschließlich Patienten mit Morbus Gaucher Typ 1 mit Cerdelga behandelt werden und dass Cerdelga nicht bei gewissen Patienten mit Leberproblemen sowie nicht zusammen mit anderen Arzneimitteln angewendet wird, die dessen Blutspiegel erheblich beeinflussen können. Alle Patienten, denen Cerdelga verschrieben wird, erhalten einen Patientenpass. Alle Angehörigen der Heilberufe, die Cerdelga voraussichtlich verschreiben werden, erhalten einen Leitfaden für Verordner. Das Unternehmen wird außerdem Protokoll über mit Cerdelga behandelte Patienten führen, um die Langzeitsicherheit des Arzneimittels zu überwachen.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Cerdelga, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Cerdelga kontinuierlich überwacht. Gemeldete Nebenwirkungen von Cerdelga werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

### **Weitere Informationen über Cerdelga**

Cerdelga erhielt am 19. Januar 2015 eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Cerdelga finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).

Diese Übersicht wurde zuletzt im 06-2018 aktualisiert.