



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/393107/2018  
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 ενηλίκων με νόσο Gaucher τύπου 1.

Η νόσος Gaucher είναι μια γενετική πάθηση, κατά την οποία ένα λιπίδιο που ονομάζεται γλυκοσυλκεραμίδιο (ή γλυκοκερεβροσίδιο) συσσωρεύεται στον οργανισμό, συνήθως στο ήπαρ, στον σπλήνα και στα οστά. Το γεγονός 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 εδώ: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Το Cerdelga περιέχει τη δραστική ουσία ελιγλουστάτη.

### Πώς χρησιμοποιείται το Cerdelga;

Το Cerdelga διατίθεται υπό μορφή καψακίων (84 mg) για χορήγηση από το στόμα. 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 ασθενείς με φυσιολογική ταχύτητα διάσπασης του φαρμάκου λαμβάνουν 1 καψάκιο δύο φορές την ημέρα, ενώ οι ασθενείς των οποίων η ικανότητα διάσπασης του φαρμάκου είναι πιο αργή λαμβάνουν 1 καψάκιο μία φορά την ημέρα.

Οι ασθενείς των οποίων ο οργανισμός διασπά το φάρμακο με υπερβολική ταχύτητα (ασθενείς με «υπερβολικά εκτενή μεταβολική ικανότητα») δεν πρέπει να λαμβάνουν το Cerdelga. Οι ασθενείς οι οποίοι δεν έχουν υποβληθεί σε σχετική εξέταση ή οι ασθενείς των οποίων τα αποτελέσματα των εξετάσεων δεν είναι σαφή δεν πρέπει να λαμβάνουν το Cerdelga.

Το Cerdelga χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη και η επίβλεψη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με πείρα στη διαχείριση της νόσου Gaucher. 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 είναι υπεύθυνη για 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;**

Οι μελέτες έδειξαν ότι το Cerdelga είναι αποτελεσματικό στη θεραπεία της νόσου, περιλαμβανομένης της μείωσης της διόγκωσης του 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 τους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία), οι οποίοι παρουσίασαν αύξηση της τάξεως του 2%. Επίσης, οι ασθενείς που έλαβαν Cerdelga παρουσίασαν βελτίωση και σε άλλες ενδείξεις της νόσου, όπως μείωση του μεγέθους του ήπατος και αύξηση των επιπέδων αιμοσφαιρίνης (η πρωτεΐνη των ερυθροκυττάρων που διοχετεύει οξυγόνο στον οργανισμό).

Μια άλλη μελέτη εξέτασε το 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, σε σύγκριση με το 94% των ασθενών που συνέχισαν τη θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης.

## **Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Cerdelga;**

Η συχνότερη ανεπιθύμητη ενέργεια του Cerdelga είναι η δυσπεψία (στομαχικός καύσος) η οποία παρατηρήθηκε σε περίπου 6 στους 100 ασθενείς. Η συχνότερη σοβαρή ανεπιθύμητη ενέργεια είναι η λιποθυμία, η οποία παρατηρήθηκε σε 8 στους 1000 ασθενείς. Οι περισσότερες ανεπιθύμητες ενέργειες είναι ήπιες και βραχείας διάρκειας. Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών που έχουν αναφερθεί με το Cerdelga, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Cerdelga δεν πρέπει να χορηγείται σε ορισμένους ασθενείς με ηπατικά προβλήματα ή σε ασθενείς που λαμβάνουν ορισμένα φάρμακα τα οποία μπορούν να επηρεάσουν την ικανότητα του οργανισμού να διασπά το φάρμακο. Για τον πλήρη κατάλογο των περιορισμών, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

## **Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Cerdelga στην ΕΕ;**

Οι μελέτες δείχνουν ότι το Cerdelga είναι αποτελεσματικό στη βελτίωση των συμπτωμάτων της νόσου για τους περισσότερους ασθενείς με νόσο Gaucher τύπου 1 οι οποίοι δεν είχαν λάβει προηγούμενη θεραπεία, αλλά και στη διατήρηση των περισσότερων ασθενών (που είχαν υποβληθεί προηγουμένως σε θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης) σε σταθερή κατάσταση. Ωστόσο, ένας μικρός αριθμός ασθενών (το 15% περίπου), στους οποίους η θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης αντικαταστάθηκε με Cerdelga, δεν παρουσίασε την καλύτερη δυνατή απόκριση ύστερα από έναν χρόνο θεραπείας. Για τους εν λόγω ασθενείς πρέπει να εξεταστούν άλλες θεραπευτικές επιλογές. Οι ασθενείς που αντικαθιστούν τη θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης πρέπει να παρακολουθούνται τακτικά για την εξέλιξη της νόσου.

Σε ό,τι αφορά την ασφάλεια, παρόλο που οι ανεπιθύμητες ενέργειες ήταν κυρίως ήπιες και παροδικές, προτάθηκε η περαιτέρω διερεύνηση της μακροχρόνιας ασφάλειας 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 εκπαιδευτικό υλικό σε γιατρούς και ασθενείς σχετικά με το φάρμακο, προκειμένου να διασφαλιστεί ότι μόνο οι ασθενείς με νόσο Gaucher τύπου 1 λαμβάνουν θεραπεία με Cerdelga και ότι το Cerdelga δεν χορηγείται σε ασθενείς με ηπατικά προβλήματα ή σε συνδυασμό με άλλα φάρμακα τα οποία μπορούν να μεταβάλουν σημαντικά τα επίπεδά του στο αίμα. Σε όσους ασθενείς συνταγογραφείται το Cerdelga θα δοθεί κάρτα προειδοποίησης ασθενούς. Οι επαγγελματίες υγείας που αναμένεται να συνταγογραφήσουν το Cerdelga θα λάβουν οδηγίες συνταγογράφησης. Επίσης, η εταιρεία θα τηρήσει αρχείο με τους ασθενείς που λαμβάνουν θεραπεία με Cerdelga με σκοπό 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/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 06-2018.