



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cerdelga (eliglustaat)

Ülevaade ravimist Cerdelga ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Cerdelga ja milleks seda kasutatakse?

Cerdelga on ravim, mida kasutatakse 1. tüüpi Gaucher' tõve pikaajaliseks raviks täiskasvanud patsientidel.

Gaucher' tõbi on geenihäire, mille korral rasv glükosüülseramiid (teise nimetusega glükotserebroosid) koguneb organismi, tüüpiliselt maksa, põrna ja luudesse, ning põhjustab näiteks järgmiste sümptomite teket: aneemia (erütrotsüütide ehk vere punaliblede vähesus), väsimus, verevalumite kerge teke, suurenenud põrn ja maks, luuvalu ja luumurrud. Haigust põhjustab rasva lõhustava teatud ensüümi puudus.

Gaucher' tõbi esineb harva ja Cerdelga nimetati 4. detsembril 2007 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Cerdelga sisaldab toimeainena eliglustaati.

Kuidas Cerdelgat kasutatakse?

Cerdelgat turustatakse suukaudsete kapslitena (84 mg). Enne ravi alustamist tehakse patsiendile uuring, kui kiiresti laguneb ravim tema organismis. Ravimit normaalse kiirusega lagundava organismiga patsientide annus on 1 kapsel kaks korda ööpäevas ja aeglaselt lagunavate patsientide annus 1 kapsel üks kord ööpäevas.

Cerdelgat ei tohi kasutada patsiendid, kelle organism lagundab seda ravimit väga kiiresti (ülisuur ensümaatiline aktiivsus). Ravimit ei tohi kasutada ka patsiendid, kellele ei ole ravimi lagunemiskiiruse uuringut tehtud või kelle uuringutulemused ei ole selged.

Cerdelga on retseptiravim. Ravi peab algama ja toimuma Gaucher' tõve ravis kogenud arsti järelevalve all. Lisateavet Cerdelga kasutamise kohta vt pakendi infolehest või konsulteerige oma arsti või apteekriga.



Kuidas Cerdelga toimib?

Cerdelga toimeaine eliglustaat blokeerib glükosüültseramiidi tekkes osaleva ensüümi toime. Et glükosüültseramiidi kogunemine organismi, näiteks põrna, maksa ja luudesse, põhjustab 1. tüüpi Gaucher' tõve sümptomeid, aitab selle tekkimise vähendamine ennetada kogunemist ja toetab kahjustatud elundite talitlust.

Milles seisneb uuringute põhjal Cerdelga kasulikkus?

Uuringud tõendavad Cerdelga efektiivsust Gaucher' tõve ravis, ka suurenenud põrna ja maksa suuruse vähendamisel.

40 varem ravimata 1. tüüpi Gaucher' tõvega patsiendi uuringus vähenes 9-kuuse ravi järel Cerdelgat kasutanud patsientidel põrna suurus 28% ja platseebot (näiv ravim) kasutanud patsientidel suurenes põrn 2%. Cerdelga uuringurühma patsientidel paranesid ka muud haiguse sümptomid, näiteks vähenes maksa suurus ja suurenes vere hemoglobiinisisaldus (hemoglobiin on hapnikku siduv erütrotsüütide ehk vere punaliblede valk).

Teises uuringus uuriti Cerdelga toimet 159 patsiendile, kelle haigus allus hästi ensüümasendusravile. Uuringus oli patsiente, kelle haigus püsis stabiilsena, aastaks Cerdelgale üle läinutest 85% ja ensüümasendusraviga jätkanutest 94%.

Mis riskid Cerdelgaga kaasnevad?

Cerdelga kõige sagedam kõrvalnäht on düspepsia (kõrvetised), mis esineb ligikaudu 6 patsiendil 100st. Kõige sagedam raske kõrvalnäht on minestus, mis esineb 8 patsiendil 1000st. Enamik kõrvalnähte on kerged ja lühiajalised. Cerdelga kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Cerdelgat ei tohi võtta teatud maksaprobleemidega patsiendid ja patsiendid, kes võtavad ravimeid, mis võivad häirida ravimi lagunemist organismis. Piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

ELis Cerdelgale väljastatud müügiloa põhjendus

Uuringutes tõendati, et Cerdelga on efektiivne sümptomite vähendamisel enamikul varem ravimata 1. tüüpi Gaucher' tõvega patsientidel ja et enamiku varem ensüümasendusravi saanud patsientide seisund püsis stabiilsena. Samas ei olnud väikese osa (ligikaudu 15%) ensüümasendusravilt Cerdelgale üle läinud patsientide ravivastus aastase ravi järel optimaalne. Neil patsientidel tuleb kaalutleda muid ravivõimalusi. Kõigil ensüümasendusravilt Cerdelgale üle läinud patsientidel tuleb regulaarselt jälgida haiguse progresseerumist.

Ohutuse seisukohast olid kõrvalnähud enamasti kerged ja mööduvad, kuid ravimi pikaajalist ohutust soovitati edasi uurida.

Euroopa Raviamet otsustas, et Cerdelga kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja lubati ravimi kasutamine ELis.

Mis meetmed võetakse, et tagada Cerdelga ohutu ja efektiivne kasutamine?

Cerdelga turustaja annab arstidele ja patsientidele teabematerjalid tagamaks, et Cerdelgaga ravitakse ainult 1. tüüpi Gaucher' tõvega patsiente ja et Cerdelgat ei kasutata teatud maksaprobleemidega patsientidel ega koos teiste ravimitega, mis võivad oluliselt muuta ravimi sisaldust veres. Kõigile patsientidele, kellele on määratud ravi Cerdelgaga, antakse patsiendi hoiauskart. Kõigile

tervishoiutöötajatele, kes eeldatavasti määravad Cerdelga-ravi, antakse tervishoiutöötaja juhend. Lisaks säilitab ettevõtte Cerdelgaga ravitud patsientide andmed, et jälgida ravimi pikaajalist ohutust.

Cerdelga ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, teostatakse Cerdelga kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Cerdelga kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks rakendatakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Cerdelga kohta

Cerdelga on saanud müügiloa, mis kehtib kogu ELis, 19. jaanuaril 2015.

Lisateave Cerdelga kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 06.2018.