



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cerdelga (*eliglustaatti*)

Yleistiedot Cerdelgasta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Cerdelga on ja mihin sitä käytetään?

Cerdelga on lääke, jota käytetään 1-tyyppin Gaucher'n tautia sairastavien aikuispotilaiden pitkäaikaiseen hoitoon.

Gaucher'n tauti on perinnöllinen sairaus, jossa keho ei pilko tehokkaasti glukosyylikeramidi-nimistä ainetta (eli glukoserebrosidia). Tämän vuoksi glukosyylikeramidi kertyy pernaan, maksaan ja luihin. Tämä aiheuttaa anemiaa (punasolujen alhainen määrä), väsymystä, mustelmaherkkyttä, pernan ja maksan suurenemista sekä kipua luissa ja luunmurtumia. Tautia sairastavalla ei ole riittävästi entsyymiä, joka pilkkoo rasva-ainetta.

Gaucher'n tauti on harvinainen; Cerdelga nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 4. joulukuuta 2007. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Cerdelgan vaikuttava aine on eliglustaatti.

Miten Cerdelgaa käytetään?

Cerdelgaa on saatavana kapsleina (84 mg), jotka otetaan suun kautta. Ennen hoidon aloittamista potilaalle tehdään testi sen selvittämiseksi, miten nopeasti hänen kehonsa pilkkoo lääkkeen. Potilaat, joiden keho pilkkoo lääkettä normaalilla nopeudella, ottavat yhden kapselin kahdesti päivässä, ja potilaat, joiden keho pilkkoo lääkettä hitaasti, ottavat yhden kapselin kerran päivässä.

Potilaiden, joiden keho pilkkoo lääkettä hyvin nopeasti ('hyvin nopeat metaboloijat'), ei pidä ottaa Cerdelgaa. Myöskään potilaiden, joita ei ole testattu tai joiden testitulokset eivät ole selvillä, ei pidä ottaa lääkettä.

Cerdelgaa saa ainoastaan lääkemääräyksestä. Hoidon saa aloittaa ja sitä tulee valvoa Gaucher'n taudin hoitoon perehtynyt lääkäri. Lisätietoja Cerdelgan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.



Miten Cerdelga vaikuttaa?

Cerdelgan vaikuttava aine on eliglustaatti, joka estää glukosyylikeramidirasvan tuotantoon osallistuvan entsyymin toiminnan. Tämän rasva-aineen kertyminen elimiin, kuten pernaan, maksaan ja luihin, aiheuttaa tyypin 1 Gaucher'n taudin oireet, joten sen tuotannon vähentäminen auttaa estämään sen kertymistä, mikä puolestaan auttaa kyseisiä elimiä toimimaan paremmin.

Mitä hyötyä Cerdelgasta on havaittu tutkimuksissa?

Tutkimuksissa on todettu, että Cerdelga on tehokas taudin hoidossa, mukaan lukien laajentuneen pernan ja maksan pieneminen.

Tutkimuksessa, johon osallistui 40 1-tyypin Gaucher'n tautia sairastavaa henkilöä, jotka eivät olleet saaneet sairauteensa aikaisempaa hoitoa, Cerdelgaa saaneiden potilaiden pernan koko pieneni 28 prosenttia ja lumelääkettä saaneiden pernan koko suureni 2 prosenttia 9 kuukauden hoitojakson jälkeen. Cerdelgaa saaneilla potilailla havaittiin myös muiden sairauden merkkien vähenemistä, kuten maksan koon pienenemistä ja hemoglobiinipitoisuuksien (happea elimistön eri osiin kuljettava punasolujen proteiini) kohoamista.

Toiseen tutkimukseen osallistui 159 potilasta, jotka olivat saaneet ennen tutkimukseen osallistumista puuttuvan entsyymin korvaushoitoa. Tässä tutkimuksessa vuoden hoitojakson jälkeen Cerdelgaa saaneista 85 prosentilla sairaus oli pysynyt vakaana; entsyymikorvaushoitoa jatkaneiden vastaava osuus oli 94 prosenttia.

Mitä riskejä Cerdelgaan liittyy?

Cerdelgan yleisin sivuvaikutus on dyspepsia (näristys), jota esiintyy noin kuudella sadasta potilaasta. Yleisin vakava sivuvaikutus on pyörtyminen, jota esiintyy kahdeksalla tuhannesta potilaasta. Suurin osa sivuvaikutuksista on vähäisiä ja lyhytaikaisia. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Cerdelgan ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Potilaiden, joilla on tiettyjä maksasairauksia tai jotka käyttävät tiettyjä lääkkeitä, jotka voivat vaikuttaa kehon kykyyn pilkkoa lääkettä, ei pidä ottaa Cerdelgaa. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista rajoituksista.

Miksi Cerdelga on hyväksytty EU:ssa?

Tutkimukset osoittavat, että Cerdelga parantaa tehokkaasti enemmistöllä sellaisten 1-tyypin Gaucher'n tautia sairastavien potilaiden oireita, jotka eivät ole saaneet aikaisempaa hoitoa. Se myös auttaa sairauden pysymistä vakaana useimmilla potilailla, jotka ovat aiemmin saaneet entsyymikorvaushoitoa. Pienellä osalla potilaista (noin 15 prosenttia), jotka vaihtoivat entsyymikorvaushoidon Cerdelgaan, vaste ei kuitenkaan ollut optimaalinen vuoden hoitojakson jälkeen. Näiden potilaiden osalta olisi harkittava muita hoitovaihtoehtoja. Kaikkia entsyymikorvaushoidosta Cerdelgaan vaihtavia potilaita on seurattava säännöllisesti taudin etenemisen osalta.

Turvallisuuden kannalta sivuvaikutukset olivat pääasiassa vähäisiä ja ohimeneviä, mutta lääkkeen pitkäaikaisen käytön turvallisuutta suositellaan tutkittavan lisää.

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Cerdelgan hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Cerdelgan turvallinen ja tehokas käyttö?

Cerdelgaa markkinoiva yhtiö toimittaa lääkäreille ja potilaille koulutusmateriaalia sen varmistamiseksi, että Cerdelgaa annetaan vain 1-tyyppin Gaucher'n tautia sairastaville potilaille ja että Cerdelgaa ei anneta potilaille, joilla on tiettyjä maksaongelmia, eikä yhdessä muiden lääkkeiden kanssa, jotka voivat merkittävästi vaikuttaa Cerdelgan pitoisuuteen veressä. Kaikki potilaat, joille määrätään Cerdelgaa, saavat potilaskortin. Kaikille terveydenhuollon ammattilaisille, jotka voivat määrätä Cerdelgaa, toimitetaan lääkkeen määrääjän opas. Yhtiö pitää myös rekisteriä Cerdelgaa saaneista potilaista tarkastellakseen lääkkeen turvallisuutta pitkällä aikavälillä.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Cerdelgan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Cerdelgan käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Cerdelgasta ilmoitetut sivuvaikutukset arvioidaan huolellisesti ja suoritetaan kaikki tarvittavat toimet potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Cerdelgasta

Cerdelga sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 19. tammikuuta 2015.

Lisää tietoa Cerdelgasta on saatavissa viraston verkkosivustolla: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 06-2018.