



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Cerdelga (*éliglustat*)

Aperçu de Cerdelga et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

### Qu'est-ce que Cerdelga et dans quel cas est-il utilisé?

Cerdelga est un médicament utilisé pour le traitement à long terme de la maladie de Gaucher de type 1 chez l'adulte.

La maladie de Gaucher est une maladie génétique dans laquelle un lipide appelé le glucosylcéramide (ou glucocérébroside) s'accumule dans l'organisme, généralement dans le foie, la rate et les os, ce qui provoque des symptômes tels que l'anémie (faible nombre de globules rouges), la fatigue, une tendance à développer facilement des hématomes, une augmentation du volume de la rate et du foie, des douleurs osseuses et des fractures. Cette maladie est causée par l'absence d'une enzyme qui dégrade ce lipide.

La maladie de Gaucher est rare et Cerdelga a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 4 décembre 2007. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Cerdelga contient la substance active éliglustat.

### Comment Cerdelga est-il utilisé?

Cerdelga est disponible sous forme de gélules (84 mg) à prendre par voie orale. Avant de commencer le traitement, les patients sont soumis à un test pour déterminer la vitesse à laquelle le médicament se dégrade dans leur organisme. Les patients dont l'organisme dégrade ce médicament à une vitesse normale prennent 1 gélule deux fois par jour, tandis que ceux dont l'organisme dégrade ce médicament lentement prennent 1 gélule une fois par jour.

Les patients dont l'organisme dégrade ce médicament à très grande vitesse (appelés «métaboliseurs ultrarapides») ne doivent pas prendre Cerdelga. Les patients qui n'ont pas été testés ou dont les résultats du test ne sont pas clairs ne doivent pas non plus prendre ce médicament.

Cerdelga n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et surveillé par un médecin expérimenté dans la prise en charge de la maladie de Gaucher. Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Cerdelga, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.



## **Comment Cerdelga agit-il?**

La substance active de Cerdelga, l'éliglustat, agit en bloquant l'action d'une enzyme qui intervient dans la production du lipide glucosylcéramide. L'accumulation de ce lipide dans des organes comme la rate, le foie et les os étant responsable des symptômes de la maladie de Gaucher de type 1, le fait de diminuer sa production empêche son accumulation, et contribue ainsi à un meilleur fonctionnement des organes touchés.

## **Quels sont les bénéfices de Cerdelga démontrés au cours des études?**

Des études montrent que Cerdelga est efficace dans le traitement de la maladie, y compris dans la réduction de la taille de la rate et du foie dilatés.

Dans une étude portant sur 40 patients atteints de la maladie de Gaucher de type 1 et naïfs de tout traitement, les patients prenant Cerdelga ont présenté une réduction de 28 % de la taille de leur rate contre une augmentation de 2 % chez les patients sous placebo (un traitement fictif) après 9 mois de traitement. Les patients ayant pris Cerdelga ont aussi présenté une amélioration des autres signes de la maladie telle qu'une réduction de la taille du foie et une augmentation du taux d'hémoglobine (protéine présente dans les globules rouges qui permet de transporter l'oxygène dans l'organisme).

Une autre étude a permis d'évaluer Cerdelga sur 159 patients dont la maladie était bien contrôlée par un traitement enzymatique substitutif. Lors de cette étude, la maladie est restée stable chez 85 % des patients qui sont passés à Cerdelga pendant un an et chez 94 % des patients ayant poursuivi un traitement enzymatique substitutif.

## **Quels sont les risques associés à l'utilisation de Cerdelga?**

L'effet indésirable le plus couramment observé sous Cerdelga est la dyspepsie (brûlures d'estomac), qui touche approximativement six patients sur 100. L'effet indésirable grave le plus couramment observé est l'évanouissement, qui concerne huit patients sur 1 000. La majorité des effets indésirables sont d'intensité légère et de courte durée. Pour une description complète des effets indésirables observés sous Cerdelga, voir la notice.

Cerdelga ne doit pas être administré chez certains patients souffrant de problèmes hépatiques ou chez ceux qui prennent certains médicaments susceptibles d'avoir une incidence sur la capacité de l'organisme à dégrader le médicament. Pour une liste complète des restrictions, voir la notice.

## **Pourquoi Cerdelga est-il autorisé dans l'UE?**

Des études montrent que Cerdelga est efficace pour réduire les symptômes de la maladie chez une majorité de patients atteints de la maladie de Gaucher de type 1 et naïfs de tout traitement ainsi que pour stabiliser la maladie chez la plupart des patients ayant suivi auparavant un traitement enzymatique substitutif. Cependant, une minorité de patients (15 % environ) qui sont passés d'un traitement enzymatique substitutif au traitement par Cerdelga, n'ont pas obtenu une réponse optimale après un an de traitement. Pour ces patients, d'autres options thérapeutiques doivent être envisagées. Pour tous les patients préalablement soumis à un traitement enzymatique substitutif, une surveillance de la progression de la maladie doit être assurée.

Concernant la sécurité, les effets indésirables étaient pour la plupart d'intensité légère et transitoires, mais il a été recommandé d'évaluer plus précisément la sécurité à long terme du médicament.

L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Cerdelga sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

## **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Cerdelga?**

La société qui commercialise Cerdelga fournira des supports d'information aux médecins et aux patients pour s'assurer que seuls les patients atteints de la maladie de Gaucher de type 1 sont traités par Cerdelga et que Cerdelga n'est pas utilisé chez des patients souffrant de problèmes hépatiques et en association avec d'autres médicaments qui peuvent modifier sensiblement son taux dans le sang. Tous les patients à qui Cerdelga est prescrit recevront une carte d'information patient. Tous les professionnels de santé amenés à prescrire Cerdelga recevront un guide du prescripteur. La société conservera également une trace écrite des patients traités par Cerdelga pour examiner la sécurité à long terme du médicament.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Cerdelga ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Cerdelga sont surveillées en permanence. Les effets secondaires rapportés avec Cerdelga sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

### **Autres informations relatives à Cerdelga:**

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Cerdelga, le 19 janvier 2015.

Des informations sur Cerdelga sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Dernière mise à jour du présent aperçu: 06-2018.