



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cerdelga (*eliglustat*)

Sintesi di Cerdelga e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Cerdelga e per cosa si usa?

Cerdelga è un medicinale indicato per il trattamento a lungo termine di pazienti adulti con malattia di Gaucher di tipo 1.

La malattia di Gaucher è una condizione genetica, in cui un grasso detto glucosilceramide (o glucocerebroside) si deposita nell'organismo, in genere nel fegato, nella milza e nelle ossa. Ne derivano sintomi quali anemia (bassa conta di globuli rossi), stanchezza, tendenza alle ecchimosi, ingrossamento della milza e del fegato nonché dolore alle ossa e fratture. La malattia è causata dalla mancanza di un enzima che metabolizza il grasso.

La malattia di Gaucher è "rara" e Cerdelga è stato definito come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 4 dicembre 2007. Maggiori informazioni sulla definizione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Cerdelga contiene il principio attivo eliglustat.

Come si usa Cerdelga?

Cerdelga è disponibile sotto forma di capsule (84 mg) da assumere per via orale (per bocca). Prima di iniziare il trattamento, i pazienti vengono sottoposti a test per determinare la rapidità di metabolizzazione del medicinale nell'organismo. I pazienti il cui organismo metabolizza il medicinale a velocità normale devono assumere 1 capsula due volte al giorno, mentre quelli il cui organismo metabolizza il medicinale lentamente devono assumere 1 capsula una volta al giorno.

I pazienti il cui organismo metabolizza questo medicinale molto rapidamente ("metabolizzatori ultrarapidi") non devono assumere Cerdelga. Non devono assumere questo medicinale neanche quei pazienti che non sono stati sottoposti a test o i cui risultati non sono chiari.

Cerdelga può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve essere iniziata e condotta sotto la supervisione di un medico esperto nella gestione della malattia di Gaucher. Per maggiori informazioni sull'uso di Cerdelga, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.



Come agisce Cerdelga?

Il principio attivo di Cerdelga, eliglustat, agisce bloccando l'azione di un enzima coinvolto nella produzione di glucosilceramide. Poiché l'accumulo di questa sostanza grassa in organi quali milza, fegato e ossa è responsabile dei sintomi della malattia di Gaucher di tipo 1, ridurne la produzione concorre a limitarne l'accumulo in tali organi, che pertanto funzionano meglio.

Quali benefici di Cerdelga sono stati evidenziati negli studi?

Gli studi mostrano che Cerdelga è efficace nel trattamento della malattia, compresa la riduzione della dimensione della milza e del fegato ingrossati.

In uno studio su 40 pazienti precedentemente non trattati affetti da malattia di Gaucher di tipo 1, i pazienti che assumevano Cerdelga hanno evidenziato una riduzione delle dimensioni della milza del 28 %, rispetto all'aumento del 2 % osservato nei pazienti che assumevano placebo (un trattamento fittizio) a distanza di 9 mesi dal trattamento. I pazienti che assumevano Cerdelga hanno inoltre evidenziato un miglioramento di altri segni della malattia, tra cui una riduzione delle dimensioni del fegato e un aumento dei livelli di emoglobina (la proteina presente nei globuli rossi che trasporta l'ossigeno).

Un altro studio ha esaminato Cerdelga in 159 pazienti la cui malattia era adeguatamente controllata dalla terapia enzimatica sostitutiva. In questo studio, la malattia è rimasta stabile nell'85 % dei pazienti che sono passati a Cerdelga per un anno e nel 94 % dei pazienti che hanno proseguito con la terapia enzimatica sostitutiva.

Quali sono i rischi associati a Cerdelga?

L'effetto indesiderato più comune di Cerdelga è la dispepsia (bruciore di stomaco) in circa 6 pazienti su 100. L'effetto indesiderato grave più comune è lo svenimento, in 8 pazienti su 1 000. La maggior parte degli effetti indesiderati è lieve e di breve durata. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Cerdelga, vedere il foglio illustrativo.

Cerdelga non deve essere assunto da alcuni pazienti con problemi epatici o dai pazienti che assumono taluni medicinali che possono interferire con la capacità dell'organismo di metabolizzarlo. Per l'elenco completo delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

Perché Cerdelga è autorizzato nell'UE?

Gli studi mostrano che Cerdelga è efficace nel migliorare i sintomi della malattia in una maggioranza di pazienti con malattia di Gaucher di tipo 1 precedentemente non trattati, oltre che nel mantenere la malattia stabile nella maggior parte dei pazienti precedentemente trattati con una terapia enzimatica sostitutiva. Tuttavia, una minoranza di pazienti (circa il 15 %) che sono passati da una terapia enzimatica sostitutiva a Cerdelga non ha risposto in maniera ottimale dopo un trattamento di un anno. Per questi pazienti è opportuno prendere in considerazione altre opzioni terapeutiche. La progressione della malattia deve essere periodicamente monitorata in tutti i pazienti che passano da una terapia enzimatica sostitutiva a Cerdelga.

Per quanto concerne la sicurezza, sebbene gli effetti indesiderati siano stati di natura perlopiù lieve e transitoria, è stato raccomandato di studiare ulteriormente la sicurezza del medicinale nel lungo termine.

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Cerdelga sono superiori ai rischi e perciò può essere autorizzato per l'uso nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Cerdelga?

La ditta che commercializza Cerdelga fornirà a medici e pazienti materiali informativi per garantire che siano trattati con Cerdelga soltanto i soggetti con malattia di Gaucher di tipo 1 e che il medicinale non sia somministrato ad alcuni pazienti con problemi epatici e in combinazione con altri medicinali suscettibili di alterarne in maniera significativa i livelli nel sangue. Tutti i pazienti cui sarà prescritto Cerdelga riceveranno una scheda di allerta. A tutti gli operatori sanitari che potrebbero prescrivere Cerdelga sarà fornita una guida del medico prescrittore. La ditta inoltre terrà un registro dei pazienti trattati con Cerdelga per valutare la sicurezza a lungo termine del medicinale.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Cerdelga sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Cerdelga sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Cerdelga sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Cerdelga

Cerdelga ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 19 gennaio 2015.

Ulteriori informazioni su Cerdelga sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 06-2018.