



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cerdelga (*eliglustatas*)

Cerdelga apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Cerdelga ir kam jis vartojamas?

Cerdelga – tai vaistas, kuris skiriamas taikant ilgalaikį gydymą suaugusiems pacientams, sergantiems 1 tipo Gošė liga.

Gošė liga – tai genetinis sutrikimas, dėl kurio organizme, paprastai kepenyse, blužnyje ir kauluose, kaupiasi riebalai, vadinami gliukozilkeramidu (arba gliukocerebrozidu). Tai sukelia tokius simptomus kaip mažakraujystė (raudonųjų kraujo ląstelių skaičiaus sumažėjimas), nuovargis, lengvai atsirandanti kraujosruvos, blužnies ir kepenų padidėjimas bei kaulų skausmas ir lūžiai. Ligą sukelia nepakankamas riebalus skaidančio fermento kiekis organizme.

Gošė liga laikoma reta, todėl 2007 m. gruodžio 4 d. Cerdelga buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Cerdelga sudėtyje yra veikliosios medžiagos eliglustato.

Kaip vartoti Cerdelga?

Gaminamos Cerdelga geriamosios kapsulės (84 mg). Prieš pradėdant gydymą, ištiriama, kaip greitai šis vaistas skaidomas paciento organizme. Pacientai, kurių organizme šis vaistas skaidomas įprastu greičiu, vartoja vieną kapsulę du kartus per parą, o tie, kurių organizme vaistas skaidomas lėtai, vartoja vieną kapsulę kartą per parą.

Cerdelga negalima vartoti pacientams, kurių organizme šis vaistas skaidomas labai greitai (jie vadinami „ultragreitais metabolizuotojais“). Šio vaisto taip pat negalima vartoti pacientams, kurie nebuvo ištirti arba kurių tyrimų rezultatai yra neaiškūs.

Cerdelga galima įsigyti tik pateikus receptą. Gydymą turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis Gošė ligos gydymo patirties. Daugiau informacijos apie Cerdelga vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.



Kaip veikia Cerdelga?

Veiklioji Cerdelga medžiaga eliglustatas stabdo fermento, kuris dalyvauja riebalų, vadinamų gliukozilkeramidu, gamyboje, veikimą. Kadangi tokiuose organuose, kaip blužnis, kepenys ir kaulai, susikaupę šie riebalai sukelia 1 tipo Gošė ligos simptomus, sumažinus šių riebalų gamybą, pacientams lengviau išvengti jų kaupimosi, o tai padeda pagerinti ligos pažeistų organų veiklą.

Kokia Cerdelga nauda nustatyta tyrimų metu?

Tyrimai rodo, kad Cerdelga veiksmingai gydo Gošė ligą, taip pat mažina padidėjusią blužnį ir kepenis.

Atliekant tyrimą, kuriame dalyvavo 40 anksčiau negydytų 1 tipo Gošė liga sergančių pacientų, per devynis gydymo mėnesius pacientų, vartojusių Cerdelga, blužnis sumažėjo 28 proc., o vartojusių placebo (preparatą be veikliosios medžiagos) – padidėjo 2 proc. Taip pat Cerdelga vartojusiems pacientams palengvėjo kiti ligos požymiai, pvz., sumažėjo kepenys ir padidėjo hemoglobino (raudonosiose kraujo ląstelėse esančio baltymo, kuris išnešioja deguonį po organizmą) kiekis.

Atliekant kitą Cerdelga tyrimą, dalyvavo 159 pacientai, kurių liga buvo tinkamai kontroliuojama taikant pakaitinę trūkstamo fermento terapiją. Atlikus šį tyrimą, nustatyta, kad po metų trukmės gydymo liga išliko stabili 85 proc. Cerdelga gydytų pacientų ir 94 proc. pacientų, kurie tęsė pakaitinę fermentų terapiją.

Kokia rizika susijusi su Cerdelga vartojimu?

Dažniausias Cerdelga šalutinis poveikis yra dispepsija (rėmuo), kuris pasireiškia maždaug 6 pacientams iš 100. Dažniausias sunkus šalutinis poveikis yra alpulis, kuris pasireiškia 8 pacientams iš 1 000. Dauguma šalutinio poveikio reiškinių yra lengvi ir trumpalaikiai. Išsamų visų šalutinio poveikio reiškinių, apie kuriuos pranešta gydant Cerdelga, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Cerdelga negalima vartoti kai kuriems pacientams, sergantiems kepenų veiklos sutrikimais arba vartojantiems tam tikrus vaistus, galinčius pakenkti organizmo gebėjimui skaidyti šį vaistą. Išsamų visų apribojimų sąrašą rasite pakuotės lapelyje.

Kodėl Cerdelga buvo registruotas ES?

Tyrimai rodo, kad Cerdelga veiksmingai palengvino ligos simptomus daugumai anksčiau negydytų 1 tipo Gošė liga sergančių pacientų ir palaikė stabilią daugumos anksčiau pakaitine fermentų terapija gydytų pacientų būklę. Vis dėlto tos mažosios dalies pacientų (maždaug 15 proc.), kurie perėjo nuo pakaitinės fermentų terapijos prie gydymo Cerdelga, atsakas į gydymą po metų trukmės gydymo nebuvo optimalus. Šių pacientų atveju reikėtų apsvarstyti kitas galimas gydymo priemones. Visus pacientus, kurie pereina nuo pakaitinės fermentų terapijos prie gydymo Cerdelga, reikia nuolat stebėti dėl galimo ligos progresavimo.

Nors šalutinio poveikio reiškiniai daugiausia buvo lengvi ir trumpalaikiai, rekomenduota išsamiau ištirti ilgalaikį šio vaisto saugumą.

Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Cerdelga nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Cerdelga vartojimą?

Siekdama užtikrinti, kad Cerdelga būtų gydomi tik 1 tipo Gošė liga sergantys pacientai ir kad Cerdelga nebūtų vartojamas gydant kai kuriuos pacientus, sergančius kepenų veiklos sutrikimais, ir kartu su kitais vaistais, kurie gali smarkiai pakeisti šio vaisto koncentraciją kraujyje, Cerdelga prekiaujanti bendrovė gydytojams ir pacientams pateiks šviečiamąją medžiagą. Pacientams, kuriems bus išrašomas Cerdelga, bus išduota paciento įspėjamoji kortelė. Visiems sveikatos priežiūros specialistams, kurie, tikėtina, išrašys Cerdelga, bus pateiktas vaistinių preparatų išrašančiojo gydytojo vadovas. Taip pat bendrovė registruos Cerdelga gydomus pacientus, kad galėtų įvertinti ilgalaikį šio vaisto saugumą.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Cerdelga vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Cerdelga vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Cerdelga šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Cerdelga

Cerdelga buvo registruotas visoje ES 2015 m. sausio 19 d.

Daugiau informacijos apie Cerdelga rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2018-06.