



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Cerdelga (*eliglustat*)

*Cerdelga* pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

### Kas ir *Cerdelga* un kāpēc tās lieto?

*Cerdelga* ir zāles, ko lieto 1. tipa Gošē slimības ilgstošai ārstēšanai pieaugušajiem.

Gošē slimība ir ģenētiska saslimšana, kuras gadījumā organismā — parasti aknās, liesā un kaulos — uzkrājas tauki, ko dēvē pa glikozilkeramīdu (vai glikocerebrozīdu). Tas izraisa tādus simptomus kā anēmiju (mazu sarkano asins šūnu skaitu), nogurumu, zilumu vieglu rašanos, palielinātu liesu vai aknas, sāpes kaulos un kaulu lūzumus. Šī slimība rodas, jo trūkst enzīma, kas sašķeltu taukus.

Gošē slimība ir "reta", un 2007. gada 4. decembrī *Cerdelga* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

*Cerdelga* satur aktīvo vielu eliglustatu.

### Kā lieto *Cerdelga*?

*Cerdelga* ir pieejamas kā iekšķīgi lietojamas kapsulas (84 mg). Pirms ārstēšanas uzsākšanas tiek pārbaudīts, cik ātri pacienta organismā tiek sašķeltas zāles. Pacienti, kuru organisms zāles sašķel normālā ātrumā, jālieto 1 kapsula divreiz dienā, bet pacientiem, kuru organisms zāles sašķel lēni, jālieto 1 kapsula vienreiz dienā.

Pacienti, kuru organisms šīs zāles sašķel ļoti ātri ("īpaši ātri metabolizētāji"), nedrīkst lietot *Cerdelga*. Šīs zāles nedrīkst lietot arī pacienti, kuri nav pārbaudīti vai kuru pārbaudes rezultāti ir neskaidri.

*Cerdelga* var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana jāsāk un jāuzrauga ārstam, kuram ir pieredze Gošē slimības ārstēšanā. Papildu informāciju par *Cerdelga* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

### Kā *Cerdelga* darbojas?

*Cerdelga* aktīvā viela eliglustats darbojas, bloķējot glikozilkeramīda tauku ražošanā iesaistītā enzīma aktivitāti. Tā kā šo tauku uzkrāšanās tādās orgānos kā liesa, aknas un kauli izraisa 1. tipa Gošē



slimības simptomus, samazinot šādu tauku ražošanu, tiek novērsta to uzkrāšanās un tādējādi skartie orgāni var darboties labāk.

## **Kādi *Cerdelga* ieguvumi atklāti pētījumos?**

Pētījumos pierādīts, ka *Cerdelga* efektīvi ārstē slimību, tostarp samazina palielinātas liesas un aknu izmēru.

Pētījumā, iesaistot 40 iepriekš neārstētus 1. tipa Gošē slimības pacientus, pēc 9 mēnešus ilgas ārstēšanas ar *Cerdelga* liesas izmērs samazinājās par 28 %, salīdzinot ar izmēra palielināšanos par 2 % pacientiem, kuri saņēma placebo (zāļu imitāciju). Pacientiem, kuri lietoja *Cerdelga*, mazinājās arī citas slimības pazīmes, piemēram, aknu izmērs kļuva mazāks un paaugstinājās hemoglobīna līmenis (sarkanajās asinīs esoša olbaltumviela, kas pārnēsā skābekli).

*Cerdelga* tika vērtētas vēl vienā pētījumā, piedaloties 159 pacientiem, kuru slimība tika labi kontrolēta ar enzīmu aizvietošanas terapiju. Šajā pētījumā stabils stāvoklis saglabājās 85 % pacientu, kuru zāles uz vienu gadu tika aizvietotas ar *Cerdelga*, un 94 % pacientu, kuri turpināja saņemt enzīmu aizvietošanas terapiju.

## **Kāds risks pastāv, lietojot *Cerdelga*?**

Visbiežākās *Cerdelga* blakusparādības ir dispepsija (grēmas), kas var rasties apmēram 6 no 100 pacientiem. Visbiežākā nopietnā blakusparādība ir ģībšana, kas var rasties 8 no 1000 pacientiem. Lielākā daļa blakusparādību ir vieglas un īslaicīgas. Pilnu visu ziņoto blakusparādību sarakstu, lietojot *Cerdelga*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

*Cerdelga* nedrīkst lietot pacienti ar aknu darbības traucējumiem vai pacienti, kuri lieto noteiktas zāles, kas var traucēt organisma spējai sašķel *Cerdelga*. Pilnu ierobežojumu sarakstu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

## **Kāpēc *Cerdelga* ir reģistrētas ES?**

Pētījumos ir pierādīts, ka *Cerdelga* efektīvi mazina slimības simptomus lielākajai daļai iepriekš neārstētu 1. tipa Gošē slimības pacientu un uztur stabilu stāvokli lielākajai daļai pacientu, kurus iepriekš ārstēja ar enzīmu aizvietošanas terapiju. Tomēr nelielai daļai pacientu (apmēram 15 %), kuriem enzīmu aizvietošanas terapiju aizstāja ar *Cerdelga*, pēc viena gada atbildes reakcija uz ārstēšanu nebija optimāla. Šiem pacientiem vajadzētu apsvērt citas ārstēšanas iespējas. Visiem pacientiem, kuriem enzīmu aizvietošanas terapiju aizstāj ar *Cerdelga*, regulāri jānovēro slimības progresēšana.

Attiecībā uz drošumu blakusparādības galvenokārt bija vieglas un pārejošas, bet tika ieteikts turpināt pētīt šo zāļu drošumu ilgtermiņā.

Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Cerdelga*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

## **Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Cerdelga* lietošanu?**

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Cerdelga*, ārstiem un pacientiem nodrošinās izglītojošus materiālus, lai pārliecinātos, ka ar *Cerdelga* tiek ārstēti tikai 1. tipa Gošē slimības pacienti un *Cerdelga* netiek lietotas pacientiem ar aknu darbības traucējumiem un kopā ar citām zālēm, kas var ievērojami mainīt *Cerdelga* līmeni asinīs. Visiem pacientiem, kuriem izraksta *Cerdelga*, tiks izsniegta pacienta brīdinājuma kartīte. Visiem veselības aprūpes speciālistiem, kuri varētu izrakstīt *Cerdelga*, tiks nodrošināta rokasgrāmata

zāļu parakstītājiem. Uzņēmums arī reģistrēs informāciju par pacientiem, kurus ārstē ar *Cerdelga*, lai izvērtētu šo zāļu ilgtermiņa drošumu.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Cerdelga* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Cerdelga* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Cerdelga* lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

### **Cita informācija par *Cerdelga***

2015. gada 19. janvārī *Cerdelga* saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par *Cerdelga* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2018.06.