



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Cerdelga (*eliglustat*)

Ħarsa ġenerali lejn Cerdelga u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

### X'inhu Cerdelga u għal xiex jintuża?

Cerdelga hija medicina użata għal kura fit-tul ta' pazjenti adulti bil-marda ta' Gaucher tat-tip 1.

Il-marda ta' Gaucher hija kundizzjoni ġenetika, li timmanifesta ruħha f'xaħam imsejjaħ glukosilċeramide (jew glukocērebroside) li jibda jakkumula fil-ġisem, tipikament fil-fwied, fil-milsa u fl-għadam. Dan jikkawża sintomi bħal anemija (għadd baxx ta' ċelluli tad-demem ħomor), għeja, tbengil malajr, milsa u fwied imkabrin, u wġiġh fl-għadam u ksur tal-għadam. Il-marda hija kkawzata minn nuqqas ta' enzima li tkisser ix-xaħam.

Il-marda ta' Gaucher hija rari, u Cerdelga ġie denominat bħala 'medicina orfni' (medicina li tintuża f'mard rari) fl-4 ta' Diċembru 2007. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tista' tinstab hawn: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Cerdelga fih is-sustanza attiva eliglustat.

### Kif jintuża Cerdelga?

Cerdelga jiġi bħala kapsuli (84 mg) li għandhom jittieħdu mill-ħalq. Qabel jibda l-kura, il-pazjent jiġi ttestjat biex ikun ivverifikat kemm il-ġisem tiegħu jkisser il-medicina malajr. Pazjenti li jkissru l-medicina b'velocità normali jieħdu kapsula waħda darbtejn kuljum, filwaqt li dawk li jkissru l-medicina bil-mod jieħdu kapsula waħda darba kuljum.

Pazjenti li l-ġisem tagħhom ikisser din il-medicina b'mod mgħaġġel ħafna ("metabolizzaturi ultrarapidi") m'għandhomx jieħdu Cerdelga. Pazjenti li ma ġewx ittestjati jew li r-riżultati tat-test tagħhom mhumiex ċari, wkoll m'għandhomx jieħdu din il-medicina.

Cerdelga jista' jinkiseb biss b'ricetta ta' tabib u l-kura għandha tinbeda u tkun taħt is-supervizjoni ta' tabib b'esperjenza fl-immaniġġjar tal-marda ta' Gaucher. Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Cerdelga, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.



## **Kif jaħdem Cerdelga?**

Is-sustanza attiva f'Cerdelga, l-eliglustat, taħdem billi twaqqaf l-azzjoni ta' enzima involuta fil-produzzjoni tax-xaħam tal-glukosilceramide. Minħabba li l-akkumulazzjoni ta' dan ix-xaħam fl-organi bħal ma huma l-milsa, il-fwied u l-għadam hija responsabbli għas-sintomi tal-marda Gaucher tat-tip 1, it-tnaqqis tal-produzzjoni ta' dan ix-xaħam jgħin biex jipprevjeni l-akkumulazzjoni tiegħu, u b'hekk l-organi affettwati jkunu mgħejjuna biex jaħdmu aħjar.

## **X'inhuma l-benefiċċji ta' Cerdelga li ħarġu mill-istudji?**

L-istudji juru li Cerdelga huwa effettiv għall-kura tal-marda, inkluż għat-tnaqqis tad-daqs ta' tkabbir fil-milsa u l-fwied.

Fi studju li involva 40 pazjent li ma kinux ikkurati qabel għall-marda ta' Gaucher tat-tip 1, il-pazjenti li ħadu Cerdelga kellhom tnaqqis ta' 28% fid-daqs tal-milsa, wara 9 xhur ta' kura, meta mqabbel ma' zieda ta' 2% f'dawk li ħadu l-plaċebo (kura finta). Pazjenti li ħadu Cerdelga wrew ukoll sinjali oħra ta' titjib fejn jidhru s-sinjali tal-marda bħal tnaqqis fid-daqs tal-fwied u livelli ogħla ta' emoglobina (il-proteina fiċ-ċelluli tad-demmi ħomor li ġgħorr l-ossigenu).

Studju ieħor eżamina Cerdelga f'159 pazjent, li l-marda tagħhom kienet ikkontrollata sew bit-terapija ta' sostituzzjoni tal-enzimi. F'dan l-istudju, irriżulta li l-marda baqgħet stabbli f'85% tal-pazjenti li qalbu għal Cerdelga għal sena u f'94% tal-pazjenti li komplew b'terapija ta' sostituzzjoni tal-enzimi.

## **X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Cerdelga?**

L- effett sekondarju l-aktar komuni manifestat, riżultat tat-teħid ta' Cerdelga, huwa dispepsja (ħruq ta' stonku), b'madwar 6 minn kull 100 pazjent. L- effett sekondarju serju l-aktar komuni huwa ħass ħażin, li kien immanifestat fi 8 minn kull 1,000 pazjent. Il-maġġoranza tal-effetti sekondarji huma ħfief u ma jdumux. Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji rrapportati b'Cerdelga, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Cerdelga m'għandux jittieħed minn xi pazjenti bi problemi tal-fwied jew dawk li jieħdu ċerti mediċini li jistgħu jteġfu mill-kapaċità tal-ġisem li jkisser il-mediċina. Għal-lista sħiħa ta' restrizzjonijiet, ara l-fuljett ta' tagħrif.

## **Għaliex Cerdelga ġie awtorizzat fl-UE?**

L-istudji juru li fil-maġġoranza ta' pazjenti li ma kinux ħadu kura qabel għall-marda Gaucher tat-tip 1, Cerdelga huwa effettiv biex inaqqas is-sintomi tal-marda u biex iżomm il-marda stabbli fil-biċċa l-kbira tal-pazjenti li qabel kienu kkurati b'sostituzzjoni tal-enzimi. Madankollu, minoranza ta' pazjenti (madwar 15%) li nbidlitilhom il-kura minn sostituzzjoni tal-enzimi għal Cerdelga, ma rrispondewx bl-aħjar mod wara sena jieħdu l-kura. Għal dawn il-pazjenti għandhom jiġu kkunsidrati għażliet oħra ta' kura. Il-pazjenti kollha li jaqilbu mill-kura ta' sostituzzjoni tal-enzimi għandhom jiġu sorveljati regolarment biex tkun ivverifikata l-progressjoni tal-marda.

Rigward is-sigurtà, l-effetti sekondarji fil-maġġoranza tal-każi ma kinux ta' natura serja u kienu ta' natura tranżitorja, iżda kien irrakkomandat li s-sikurezza fit-tul tal-mediċina tiġi investigata aktar.

L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Cerdelga huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

## **X'mizuri qeghdin jittiehdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Cerdelga?**

Il-kumpanija li tqiegħed Cerdelga fis-suq se tipprovdi lit-tobba u lill-pazjenti b'materjal edukattiv biex tiżgura li pazjenti bil-marda Gaucher tat-tip 1 biss jiġu kkurati b'Cerdelga u li Cerdelga ma jintużax f'xi pazjenti bi problemi tal-fwied u flimkien ma' mediċini oħra li jistgħu jbiddu b'mod sinifikanti l-livelli tad-demm. Il-pazjenti kollha li għalihom ġie preskritt Cerdelga se jingħataw karta ta' twissija tal-pazjent. Il-professjonisti kollha fil-qasam tal-kura tas-saħħa li huma mistennija li jippreskrivu Cerdelga se jingħataw gwida ta' preskrizzjoni. Il-kumpanija se żżomm ukoll rekord ta' pazjenti kkurati b'Cerdelga biex teżamina s-sigurtà fit-tul tal-mediċina.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Cerdelga.

Bħal għall-mediċini kollha, id-data dwar l-użu ta' Cerdelga hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrapportati b'Cerdelga huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tiproteġi lill-pazjenti.

### **Informazzjoni oħra dwar Cerdelga**

Cerdelga ingħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-UE kollha fid-19 ta' Jannar 2015.

Aktar informazzjoni fuq Cerdelga tinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'06-2018.