



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cerdelga (*eliglustat*)

Een overzicht van Cerdelga en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Cerdelga en wanneer wordt het voorgeschreven?

Cerdelga is een geneesmiddel voor de langdurige behandeling van de ziekte van Gaucher type 1 bij volwassenen.

De ziekte van Gaucher is een genetische aandoening waarbij het vet glucosylceramide (of glucocerebroside) zich ophoopt in het lichaam, met name in de lever, milt en botten. Dit veroorzaakt symptomen zoals anemie (lage aantallen rode bloedcellen), vermoeidheid, bloedingstoringen, een vergrote milt en lever, en botpijn en -fracturen. De ziekte wordt veroorzaakt door een gebrek aan een enzym dat vet afbreekt.

De ziekte van Gaucher is zeldzaam, en Cerdelga werd op 4 december 2007 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Cerdelga bevat de werkzame stof eliglustat.

Hoe wordt Cerdelga gebruikt?

Cerdelga is verkrijgbaar als capsules (84 mg) die via de mond moeten worden ingenomen. Voordat de behandeling wordt gestart wordt de patiënt getest om te bekijken hoe snel zijn/haar lichaam het geneesmiddel afbreekt. Patiënten die het geneesmiddel met een normale snelheid afbreken nemen tweemaal daags een capsule in; patiënten die het geneesmiddel langzaam afbreken nemen eenmaal daags een capsule in.

Patiënten van wie het lichaam dit geneesmiddel zeer snel afbreekt ('ultrasnelle metaboliseerders') mogen geen Cerdelga innemen. Patiënten die niet zijn getest of van wie de resultaten van de tests niet duidelijk zijn mogen dit geneesmiddel ook niet innemen.

Cerdelga is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door en plaatsvinden onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van de ziekte van Gaucher. Zie de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Cerdelga.



Hoe werkt Cerdelga?

De werkzame stof in Cerdelga, eliglustat, remt de werking van een enzym dat betrokken is bij de aanmaak van het glucosylceramidevet. Aangezien de ophoping van dit vet in organen als de milt, lever en botten verantwoordelijk is voor de symptomen van de ziekte van Gaucher type 1, helpt het verminderen van de aanmaak ervan om de ophoping te voorkomen, en helpt daardoor de getroffen organen om beter te functioneren.

Welke voordelen bleek Cerdelga tijdens de studies te hebben?

Uit studies blijkt dat Cerdelga effectief is bij het behandelen van de ziekte, inclusief vermindering van de omvang van een vergrote milt en lever.

In een studie onder 40 niet eerder behandelde patiënten met de ziekte van Gaucher type 1 was na negen maanden behandeling bij patiënten die Cerdelga innamen sprake van een vermindering van 28% in miltomvang, tegenover een toename van 2% bij patiënten die een placebo (een schijnbehandeling) kregen. Patiënten die Cerdelga gebruikten, vertoonden tevens een verbetering van andere verschijnselen van de ziekte, zoals een afname in de omvang van de lever en een toegenomen concentratie hemoglobine (het eiwit in rode bloedcellen dat zuurstof door het lichaam vervoert).

Bij een andere studie werd Cerdelga onderzocht bij 159 patiënten van wie de ziekte goed onder controle was met enzymsuppletie therapie. In deze studie bleef de ziekte stabiel bij 85% van de patiënten die gedurende een jaar op Cerdelga overstapten en bij 94% van de patiënten die doorgingen met de enzymsuppletie therapie.

Welke risico's houdt het gebruik van Cerdelga in?

De meest voorkomende bijwerking van Cerdelga (die bij ongeveer 6 op de 100 patiënten optreedt) is dyspepsie (brandend maagzuur). De ernstigste bijwerking is flauwvallen, wat bij 8 op de 1 000 patiënten voorkomt. De meeste bijwerkingen zijn licht en van korte duur. Zie de bijsluiters voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van Cerdelga.

Cerdelga mag niet worden ingenomen door sommige patiënten met leverproblemen of door patiënten die bepaalde geneesmiddelen gebruiken die het vermogen van het lichaam om het geneesmiddel af te breken kunnen verstoren. Zie de bijsluiters voor de volledige beschrijving van de beperkende voorwaarden.

Waarom is van Cerdelga geregistreerd in de EU?

Uit studies bleek dat Cerdelga effectief is bij het verbeteren van de symptomen van de ziekte voor de meeste van de niet eerder behandelde patiënten met de ziekte van Gaucher type 1 en bij het stabiel houden van de ziekte bij de meeste patiënten die eerder met enzymsuppletie waren behandeld. Een minderheid van de patiënten (ongeveer 15%) die van enzymsuppletie op Cerdelga waren overgezet, reageerde echter niet optimaal na een behandeling van een jaar. Voor deze patiënten dienen andere behandelopties te worden overwogen. Alle patiënten die van enzymsuppletie overschakelen, dienen regelmatig op ziekteprogressie te worden gecontroleerd.

Wat betreft de veiligheid waren de bijwerkingen meestal licht en van voorbijgaande aard. Aanbevolen werd echter de veiligheid van het geneesmiddel op lange termijn verder te onderzoeken.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Cerdelga groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Cerdelga te waarborgen?

Het bedrijf dat Cerdelga in de handel brengt zal artsen en patiënten voorlichtingsmateriaal verschaffen om ervoor te zorgen dat uitsluitend patiënten met de ziekte van Gaucher type 1 met Cerdelga worden behandeld en dat Cerdelga niet wordt gebruikt bij sommige patiënten met leverproblemen en in combinatie met andere geneesmiddelen die de concentratie ervan in het bloed aanzienlijk kunnen veranderen. Alle patiënten aan wie Cerdelga is voorgeschreven, krijgen een waarschuwingskaart. Alle professionele zorgverleners die Cerdelga naar verwachting zullen voorschrijven, krijgen een handleiding. Het bedrijf zal ook dossiers bijhouden van patiënten die met Cerdelga zijn behandeld om naar de veiligheid van het geneesmiddel op lange termijn te kijken.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Cerdelga zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Cerdelga continu gemonitord. Bijwerkingen waargenomen voor van Cerdelga worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig wordt actie genomen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Cerdelga

Cerdelga heeft op 19 januari 2015 een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen gekregen.

Meer informatie over van Cerdelga is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 06-2018.