



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cerdelga (*eliglustat*)

Przegląd wiedzy na temat leku Cerdelga i uzasadnienie udzielenia Pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Co to jest lek Cerdelga i w jakim celu się go stosuje

Cerdelga jest lekiem stosowanym do długotrwałego leczenia osób dorosłych z chorobą Gauchera typu 1.

Choroba Gauchera jest dziedzicznym schorzeniem, w którym w organizmie, zazwyczaj w wątrobie, śledzionie i kościach, odkłada się substancja tłuszczowa zwana glukozyloceramidem (lub glukocerebrozydem). Wywołuje to objawy chorobowe takie jak niedokrwistość (zmniejszenie liczby krwinek czerwonych), zmęczenie, podatność na powstawanie siniaków, powiększenie śledziony i wątroby oraz ból i złamania kości. Przyczyną choroby jest brak enzymu odpowiedzialnego za rozkładanie glukozyloceramidu.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z chorobą Gauchera choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 4 grudnia 2007 r. lek Cerdelga uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierociego można znaleźć tutaj: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Lek Cerdelga zawiera substancję czynną eliglustat.

Jak stosować lek Cerdelga

Lek Cerdelga jest dostępny w postaci kapsułek (84 mg) do podawania doustnego. Przed rozpoczęciem leczenia konieczne jest przeprowadzenie badania sprawdzającego szybkość rozkładu leku w organizmie pacjenta. U pacjentów, których organizm rozkłada lek w prawidłowym tempie, zalecana dawka to 1 kapsułka dwa razy na dobę. U pacjentów, których organizm rozkłada lek w powolnym tempie, zalecana dawka to 1 kapsułka raz na dobę.

Leku Cerdelga nie należy stosować u pacjentów, których organizm rozkłada lek w bardzo szybkim tempie (pacjentów z ultraszybkim metabolizmem), ani pacjentów, którzy nie zostali przebadani pod tym kątem lub których wyniki badania nie są jednoznaczne.



Lek Cerdelga jest wydawany wyłącznie na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu choroby Gauchera. Więcej informacji o sposobie stosowania leku Cerdelga znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Cerdelga

Substancja czynna leku Cerdelga – eliglustat – blokuje działanie enzymu, który bierze udział w wytwarzaniu substancji tłuszczowej o nazwie glukozyloceramid. Ponieważ odkładanie się tej substancji tłuszczowej w narządach takich jak śledziona, wątroba i kości prowadzi do wystąpienia objawów choroby Gauchera typu 1, ograniczenie wytwarzania glukozyloceramidu zapobiega jego nagromadzeniu. To z kolei pomaga zajęтым narządom lepiej pracować.

Korzyści ze stosowania leku Cerdelga wykazane w badaniach

Badania wskazują, że lek Cerdelga jest skuteczny w leczeniu choroby Gauchera typu 1, a także umożliwia zmniejszenie objętości powiększonej śledziony i wątroby.

W badaniu z udziałem 40 wcześniej nieleczonych pacjentów z chorobą Gauchera typu 1 po 9 miesiącach leczenia zaobserwowano 28% zmniejszenie objętości śledziony u pacjentów przyjmujących lek Cerdelga w porównaniu z 2% zwiększeniem objętości śledziony u pacjentów, którym podawano placebo (leczenie pozorowane). U pacjentów, którzy przyjmowali lek Cerdelga, stwierdzono również poprawę w zakresie innych objawów przedmiotowych choroby, np. zmniejszenie objętości wątroby i wzrost stężenia hemoglobiny (białko w krwinkach czerwonych, które transportuje tlen w organizmie).

W innym badaniu przeanalizowano stosowanie leku Cerdelga u 159 pacjentów ustabilizowanych po enzymatycznej terapii zastępczej. W badaniu tym choroba pozostała stabilna u 85% pacjentów leczonych lekiem Cerdelga przez 1 rok w porównaniu z 94% pacjentów, którzy kontynuowali enzymatyczną terapię zastępczą.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Cerdelga

Najczęstszym działaniem niepożądanym związanym ze stosowaniem leku Cerdelga jest niestrawność (zgaga) i występuje u około 6 na 100 pacjentów. Najczęstszym ciężkim działaniem niepożądanym były omdlenia, u 8 na 1000 pacjentów. Większość działań niepożądanych ma łagodne nasilenie i przemijający charakter. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Cerdelga znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leku Cerdelga nie wolno stosować u pacjentów, u których występują zaburzenia czynności wątroby lub którzy przyjmują niektóre rodzaje leków mogących wpływać na zdolność organizmu do rozkładania leku Cerdelga. Pełny wykaz ograniczeń znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Cerdelga w UE

Badania wskazują, że lek Cerdelga skutecznie łagodzi objawy choroby u większości wcześniej nieleczonych pacjentów z chorobą Gauchera typu 1 oraz zapewnia utrzymanie stabilizacji choroby u większości pacjentów wcześniej leczonych z zastosowaniem enzymatycznej terapii zastępczej. Jednak u nielicznych pacjentów (ok. 15%), u których zmieniono sposób leczenia z enzymatycznej terapii zastępczej na leczenie lekiem Cerdelga, nie uzyskano pełnej odpowiedzi na leczenie po 1 roku. U tych pacjentów należy rozważyć zastosowanie alternatywnego sposobu leczenia. U wszystkich pacjentów wcześniej leczonych za pomocą enzymatycznej terapii zastępczej należy regularnie monitorować postęp choroby.

W odniesieniu do bezpieczeństwa stosowania większość działań niepożądanych miała łagodne nasilenie i przemijający charakter, jednakże zaleca się dalsze badania dotyczące długoterminowego bezpieczeństwa stosowania leku Cerdelga.

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Cerdelga przewyższają ryzyko i może on zostać dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Cerdelga

Firma, która wprowadza lek Cerdelga do obrotu, dostarczy materiały szkoleniowe dla lekarzy i pacjentów, aby zapewnić, że lek Cerdelga będzie stosowany w leczeniu wyłącznie pacjentów z chorobą Gauchera typu 1 oraz że lek ten nie będzie stosowany u pacjentów z zaburzeniami czynności wątroby ani w połączeniu z innymi lekami, które mogą w istotnym stopniu wpływać na stężenie leku Cerdelga we krwi. Wszyscy pacjenci, którym przepisano lek Cerdelga, otrzymają kartę ostrzeżeń dla pacjenta. Wszyscy lekarze, którzy będą wykorzystywać lek Cerdelga w swojej praktyce, otrzymają przewodnik dla lekarzy. Ponadto firma będzie prowadzić rejestr pacjentów leczonych z zastosowaniem leku Cerdelga w celu zbadania długoterminowego bezpieczeństwa stosowania tego leku.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Cerdelga w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Cerdelga są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Cerdelga są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Cerdelga

Lek Cerdelga otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 19 stycznia 2015 r.

Dalsze informacje na temat leku Cerdelga znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Data ostatniej aktualizacji: 06.2018.