



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cerdelga (*eliglustat*)

Prehľad o lieku Cerdelga a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Cerdelga a na čo sa používa?

Cerdelga je liek používaný na dlhodobú liečbu Gaucherovej choroby typu 1 u dospelých.

Gaucherova choroba je genetický stav, pri ktorom sa tuk nazývaný glukozylceramid (alebo glukocerebrozid) vytvára v tele, zvyčajne v pečeni, slezine a kostiach. To spôsobuje príznaky akými sú anémia (nízky počet červených krviniek), únava, ľahké modriny, zväčšená slezina a pečeň a bolesť kostí a zlomeniny. Choroba je spôsobená nedostatkom enzýmu na rozkladanie tuku.

Gaucherova choroba je zriedkavá a 4. decembra 2007 bol liek Cerdelga označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia (liek používaný na zriedkavé ochorenia). Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Liek Cerdelga obsahuje liečivo eliglustat.

Ako sa liek Cerdelga používa?

Liek Cerdelga je k dispozícii vo forme kapsúl (84 mg), ktoré sa užívajú perorálne. Pred začatím liečby sa pacient otestuje, aby zistilo, ako rýchlo jeho telo rozkladá liek. Pacienti, u ktorých sa liek rozkladá normálnou rýchlosťou, užívajú jednu kapsulu dvakrát denne, zatiaľ čo tí, u ktorých sa liek rozkladá pomaly, užívajú 1 kapsulu raz denne.

Pacienti, ktorých telá veľmi rýchlo rozkladajú tento liek (tzv. ľudia s ultrarýchlym metabolizmom), nemajú liek Cerdelga užívať. Pacienti, ktorí neboli testovaní alebo ktorých výsledky testu nie sú jasné, nemajú užívať tento liek.

Liek Cerdelga je len na lekárske predpis a liečbu má začať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou Gaucherovej choroby a má tiež na liečbu dohliadať. Viac informácií o používaní lieku Cerdelga si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.



Akým spôsobom liek Cerdelga účinkuje?

Liečivo lieku Cerdelga, eliglustat, pôsobí blokovaním účinku enzýmu, ktorý sa podieľa na produkcii lukozylyceramidového tuku. Pretože tvorba tohto tuku v orgánoch, akými sú slezina, pečeň a kosti, je zodpovedná za príznaky Gaucherovej choroby typu 1, znížovanie jeho produkcie pomáha brániť jej vývinu a tým pomáha postihnutým orgánom lepšie fungovať.

Aké prínosy lieku Cerdelga boli preukázané v štúdiách?

Zo štúdií vyplýva, že liek Cerdelga je účinný pri liečbe ochorenia vrátane zníženia veľkosti zväčšenej sleziny a pečene.

V štúdií so 40 pacientmi s Gaucherovou chorobou typu 1, ktorí neboli predtým liečení, mali pacienti užívajúci liek Cerdelga po 9 mesiacoch liečby 28 % zníženie veľkosti sleziny, v porovnaní s 2 % zvýšením počtu u pacientov užívajúcich placebo (zdanlivý liek). U pacientov, ktorí užívali liek Cerdelga, sa tiež preukázalo zlepšenie ďalších príznakov ochorenia, akým je zníženie veľkosti pečene a zvýšené hladiny hemoglobínu (proteínu v červených krvinkách, ktorý prenáša kyslík).

V ďalšej štúdií sa skúmal liek Cerdelga u 159 pacientov, ktorých ochorenie bolo dobre kontrolované enzýmovou substitučnou liečbou. V tejto štúdií ochorenie zostalo stabilné u 85 % pacientov, ktorí na jeden rok prešli na liek Cerdelga a 94 % pacientov, ktorí pokračovali v liečbe enzýmom.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Cerdelga?

Najčastejší vedľajší účinok pozorovaný pri používaní lieku Cerdelga je dyspepsia (pálenie záhy) u približne 6 zo 100 pacientov. Najčastejším závažným vedľajším účinkom je mdloba u 8 z 1 000 pacientov. Väčšina vedľajších účinkov je mierna a krátkodobá. Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Cerdelga sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Cerdelga nesmú užívať niektorí pacienti s problémami s pečeňou alebo tŕ, ktorí užívajú určité lieky, ktoré môžu narúšať schopnosť tela rozkladať liek. Zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Cerdelga povolený v EÚ?

Zo štúdií vyplýva, že liek Cerdelga je účinný pri zlepšovaní symptómov ochorenia u väčšiny predtým neliečených pacientov s Gaucherovou chorobou typu 1 a pri stabilizovaní ochorenia u väčšiny pacientov, ktorí boli predtým liečení náhradnou enzýmovou liečbou. Avšak menšina pacientov (približne 15 %), ktorí prešli z náhradnej enzýmovej liečby na liek Cerdelga, neodpovedali optimálne na liečbu po dobu jedného roka. U týchto pacientov je potrebné zvážiť ďalšie možnosti liečby. U všetkých pacientov, ktorí prechádzajú z náhradnej enzýmovej liečby, sa má pravidelne sledovať progresia ochorenia.

Pokiaľ ide o bezpečnosť, vedľajšie účinky boli väčšinou mierne a prechodné, ale odporúčalo sa ďalšie skúmanie dlhodobej bezpečnosti lieku.

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Cerdelga sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na jeho používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Cerdelga?

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Cerdelga na trh, poskytne lekárom a pacientom vzdelávacie materiály, aby sa zabezpečilo, že pacienti s Gaucherovou chorobou typu 1 sa budú liečiť liekom Cerdelga a že sa tento liek nebude používať u niektorých pacientov s problémami s pečeňou a spolu s inými liekmi,

ktoré môžu významne meniť ich krvné hladiny. Všetci pacienti, ktorým sa predpisuje liek Cerdelga, dostanú pohotovostnú kartu pacienta obsahujúcu podobné informácie. Všetci zdravotnícki pracovníci, ktorí budú predpisovať liek Cerdelga, dostanú príručku na predpisovanie. Spoločnosť bude tiež uchovávať záznamy o pacientoch liečených liekom Cerdelga, aby skúmala dlhodobú bezpečnosť lieku.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Cerdelga boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Cerdelga sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Cerdelga sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Cerdelga

Lieku Cerdelga bolo dňa 19. januára 2015 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Cerdelga sa nachádzajú na webovom sídle agentúry: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 06-2018