



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cerdelga (*eliglustat*)

Pregled zdravila Cerdelga in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Cerdelga in za kaj se uporablja?

Cerdelga je zdravilo, ki se uporablja za dolgotrajno zdravljenje Gaucherjeve bolezni tipa 1 pri odraslih.

Gaucherjeva bolezen je genska bolezen, pri kateri se maščoba, imenovana glukozilceramid (ali glukocerebrozid), kopiči v telesu, predvsem v jetrih, vranici in kosteh. To povzroča simptome, kot so anemija (nizko število rdečih krvnih celic), utrujenost, pogosto nastajanje modric, povečana vranica in jetra, bolečine v kosteh ter zlomi kosti. Bolezen povzroča pomanjkanje encima za razgradnjo maščobe.

Gaucherjeva bolezen je redka, zato je bilo zdravilo Cerdelga 4. decembra 2007 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Zdravilo Cerdelga vsebuje učinkovino eliglustat.

Kako se zdravilo Cerdelga uporablja?

Zdravilo Cerdelga je na voljo v obliki kapsul (84 mg), ki se jemljejo peroralno. Pred začetkom zdravljenja je treba pri bolniku preveriti, kako hitro se zdravilo v njegovem telesu razgrajuje. Bolniki, pri katerih se zdravilo razgrajuje z normalno hitrostjo, jemljejo eno kapsulo dvakrat na dan, bolniki, pri katerih se zdravilo razgrajuje počasi, pa jemljejo eno kapsulo enkrat na dan.

Bolniki, pri katerih se zdravilo razgrajuje zelo hitro („zelo hitri presnavljalci“), zdravila Cerdelga ne smejo jemati. Prav tako ga ne smejo jemati bolniki, pri katerih test ni bil opravljen ali rezultati testa niso jasni.

Predpisovanje in izdaja zdravila Cerdelga je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem Gaucherjeve bolezni. Za več informacij glede uporabe zdravila Cerdelga glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Cerdelga deluje?

Učinkovina zdravila Cerdelga, eliglustat, deluje tako, da zavira encim, ki sodeluje pri tvorbi glukozilceramida. Ker simptome Gaucherjeve bolezni tipa 1 povzroča kopičenje te maščobe v organih, kot



so vranica, jetra in kosti, je z zmanjšanjem njene tvorbe kopičenje preprečeno, s tem pa se prizadetim organom omogoči boljše delovanje.

Kakšne koristi zdravila Cerdelga so se pokazale v študijah?

Študije so pokazale, da zdravilo Cerdelga učinkovito zdravi bolezen in zmanjšuje velikost povečane vranice in jeter.

V študiji s 40 predhodno nezdravljenimi bolniki z Gaucherjevo boleznijo tipa 1 se je po devetih mesecih zdravljenja pri bolnikih, ki so jemali zdravilo Cerdelga, velikost vranice zmanjšala za 28 %, pri bolnikih, ki so jemali placebo (zdravilo brez učinkovine), pa se je povečala za 2 %. Pri bolnikih, ki so jemali zdravilo Cerdelga, so se poleg tega izboljšali tudi drugi znaki bolezni, saj je na primer prišlo do zmanjšanja velikosti jeter in zvišanja ravni hemoglobina (beljakovine v rdečih krvnih celicah, ki prenaša kisik).

V drugi študiji so zdravilo Cerdelga preučevali pri 159 bolnikih, katerih bolezen je bila dobro obvladana z nadomestnim encimskim zdravljenjem. V tej študiji je bolezen ostala stabilna pri 85 % bolnikov, ki so za eno leto prešli na zdravilo Cerdelga, in pri 94 % bolnikov, ki so nadaljevali nadomestno encimsko zdravljenje.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Cerdelga?

Najpogostejši neželeni učinek, opažen pri zdravilu Cerdelga, je dispepsija (zgaga); pojavi se lahko pri približno 6 od 100 bolnikov. Najpogostejši resni neželeni učinek je omedlevica; ta se lahko pojavi pri 8 od 1 000 bolnikov. Večina neželenih učinkov je blagih in kratkotrajnih. Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Cerdelga, glejte navodilo za uporabo.

Zdravila Cerdelga ne smejo jemati nekateri bolniki s težavami z jetri ali bolniki, ki jemljejo določena zdravila, ki lahko vplivajo na sposobnost telesa za razgradnjo zdravila. Za celoten seznam omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Cerdelga odobreno v EU?

Študije kažejo, da zdravilo Cerdelga učinkovito izboljšuje simptome bolezni pri večini predhodno nezdravljenih bolnikov z Gaucherjevo boleznijo tipa 1 in ohranja bolezen stabilno pri večini bolnikov, ki so bili predhodno zdravljeni z nadomestnim encimskim zdravljenjem, vendar se manjši delež bolnikov (približno 15 %), ki so z nadomestnega encimskega zdravljenja prešli na zdravilo Cerdelga, po enem letu zdravljenja ni optimalno odzval. Pri teh bolnikih je treba razmisliti o drugih možnostih zdravljenja. Pri vseh bolnikih, ki preidejo z nadomestnega encimskega zdravljenja, je treba redno spremljati napredovanje bolezni.

Kar zadeva varnost, so bili neželeni učinki večinoma blagi in prehodni, vendar pa je bilo priporočeno, da se dolgoročna varnost zdravila nadalje prouči.

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Cerdelga večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Cerdelga?

Podjetje, ki trži zdravilo Cerdelga, bo zdravnikom in bolnikom priskrbelo izobraževalno gradivo, da zagotovi, da bodo zdravilo Cerdelga prejeli samo bolniki z Gaucherjevo boleznijo tipa 1 in da se to zdravilo ne bo uporabljalo pri nekaterih bolnikih s težavami z jetri in skupaj z drugimi zdravili, ki lahko bistveno spremenijo ravni zdravila Cerdelga v krvi. Vsi bolniki, ki jim bo predpisano zdravilo Cerdelga,

bodo prejeli opozorilno kartico za bolnika. Vsi zdravstveni delavci, ki bodo predvidoma predpisovali zdravilo Cerdelga, bodo prejeli vodnik za zdravnike, ki predpisujejo zdravilo. Podjetje bo tudi vodilo evidenco bolnikov, zdravljenih z zdravilom Cerdelga, da bo proučilo dolgoročno varnost zdravila.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Cerdelga upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Cerdelga stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Cerdelga, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Cerdelga

Za zdravilo Cerdelga je bilo 19. januarja 2015 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Cerdelga so na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Pregled je bil nazadnje posodobljen 06-2018.