



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cerdelga (*eliglustat*)

Sammanfattning av Cerdelga och varför det är godkänt inom EU

Vad är Cerdelga och vad används det för?

Cerdelga är ett läkemedel som används vid långtidsbehandling av vuxna med Gauchers sjukdom typ 1.

Gauchers sjukdom är ett genetiskt tillstånd, vid vilket ett fettämne som kallas glukosylceramid (eller glukocerebrosid) inlagras i kroppen, vanligtvis i levern, mjälten och benvävnaden. Detta orsakar symtom såsom anemi (lågt antal röda blodkroppar), trötthet, lätthet att få blåmärken, förstörd mjälte och lever, smärta och frakturer i benvävnaden. Sjukdomen orsakas av bristen på ett enzym som bryter ner fettämnena.

Gauchers sjukdom är sällsynt och Cerdelga klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 4 december 2007. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns här:

Cerdelga innehåller den aktiva substansen eliglustat.

Hur används Cerdelga?

Cerdelga finns som kapslar (84 mg) som tas genom munnen. Innan behandlingen påbörjas testas patienterna för att se hur snabbt deras kroppar bryter ner läkemedlet. Patienter som bryter ner läkemedlet med normal hastighet tar 1 kapsel två gånger om dagen, medan de som bryter ner läkemedlet långsamt tar 1 kapsel en gång om dagen.

Patienter som bryter ner detta läkemedel mycket snabbt ("ultrasnabba metaboliserare") bör inte ta Cerdelga. Patienter som inte har testats eller som har oklara resultat av testet bör heller inte ta detta läkemedel.

Cerdelga är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla Gauchers sjukdom. För mer information om hur du använder Cerdelga, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.



Hur verkar Cerdelga?

Den aktiva substansen i Cerdelga, eliglustat, verkar genom att blockera effekten av ett enzym som deltar i framställningen av fettämnet glukosylceramid. Eftersom inlagringen av detta fettämne i organ såsom mjälten, levern och benvävnaden ligger bakom symtomen på Gauchers sjukdom typ 1 kan en minskning av dess framställning hjälpa till att förhindra inlagringen, och därigenom hjälpa de drabbade organen att fungera bättre.

Vilka fördelar med Cerdelga har visats i studierna?

Studier visar att Cerdelga är effektivt vid behandling av sjukdomen, varvid det också minskar storleken på en förstörd mjälte och lever.

I en studie på 40 tidigare obehandlade patienter med Gauchers sjukdom typ 1 sågs en 28-procentig minskning av mjältens storlek hos patienter som tog Cerdelga, jämfört med en 2-procentig ökning hos dem som tog placebo (overksam behandling) efter 9 månaders behandling. Hos patienter som tog Cerdelga framkom också en förbättring av andra tecken på sjukdomen såsom en minskning av leverns storlek och ökade nivåer av hemoglobin (proteinet i de röda blodkropparna som bär syret).

I en annan studie undersöktes Cerdelga hos 159 patienter vars sjukdom kontrollerades väl genom enzymsättningsbehandling. I denna studie förblev sjukdomen stabil hos 85 procent av patienterna som gick över till Cerdelga under ett år och hos 94 procent av patienterna som fortsatte på sin enzymsättningsbehandling.

Vilka är riskerna med Cerdelga?

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Cerdelga är dyspepsi (halsbränna), som uppträder hos cirka 6 av 100 patienter. Den vanligaste allvarliga biverkningen är svimningsanfall, hos 8 av 1 000 patienter. De flesta biverkningar är lindriga och kortvariga. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Cerdelga finns i bipacksedeln.

Cerdelga får inte tas av vissa patienter med leverproblem eller av dem som tar vissa bestämda läkemedel som kan störa kroppens förmåga att bryta ner läkemedlet. En fullständig förteckning över restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför är Cerdelga godkänt i EU?

Studier visar att Cerdelga är effektivt när det gäller att förbättra symtomen på sjukdomen för de flesta tidigare obehandlade patienter med Gauchers sjukdom typ 1 och att hålla sjukdomen stabil hos de flesta patienter som tidigare behandlats med enzymsättning. En minoritet av patienterna (omkring 15 procent) som bytte från enzymsättning till Cerdelga svarade dock inte optimalt efter behandling under ett år. För dessa patienter bör andra behandlingsalternativ övervägas. Alla patienter som byter från enzymsättning bör regelbundet övervakas för sjukdomsprogression.

Vad gäller säkerheten var biverkningarna oftast lindriga och övergående, men det rekommenderades att läkemedlets långsiktiga säkerhet bör undersökas ytterligare.

Europeiska läkemedelsmyndigheten fann att fördelarna med Cerdelga är större än riskerna och att Cerdelga kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Cerdelga?

Företaget som marknadsför Cerdelga kommer att förse läkare och patienter med utbildningsmaterial, för att se till att endast patienter med Gauchers sjukdom typ 1 behandlas med Cerdelga och att Cerdelga inte ges till vissa patienter med leverproblem och tillsammans med andra läkemedel som på ett avgörande sätt kan ändra dess halter i blodet. Alla patienter som ordinerar Cerdelga kommer att förse med ett patientkort. All hälso- och sjukvårdspersonal som förväntas förskriva Cerdelga kommer att förse med en vägledning för förskrivare. Företaget kommer även att föra ett register över patienter som behandlas med Cerdelga för att undersöka läkemedlets långsiktiga säkerhet.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Cerdelga har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Cerdelga kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Cerdelga utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Cerdelga

Den 19 januari 2015 beviljades Cerdelga ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Cerdelga finns på EMA:s webbplats

Denna sammanfattning uppdaterades senast 06-2018.