



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/541277/2024
EMA/H/C/003724

Cerdelga (*eliglustát*)

A Cerdelga-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Cerdelga és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Cerdelga olyan gyógyszer, amelyet az 1-es típusú Gaucher-kór hosszú távú kezelésére alkalmaznak felnőtteknél, valamint 6 éves és idősebb, legalább 15 kg testtömegű gyermekeknél, akiknél a betegség enzimpótló kezeléssel (ERT) jól kontrollált.

A Gaucher-kór egy genetikai állapot, amelyben a glükoszilceramid (vagy glükocerebrozid) nevű zsír halmozódik fel a szervezetben, jellemzően a májban, a lépben és a csontokban. Ez olyan tüneteket okoz, mint a vérszegénység (alacsony vörösvértestszám), fáradtság, könnyen kialakuló véraláfutások, a lép és a máj megnagyobbodása, valamint csontfájdalom és csonttörések. A betegséget egy zsírbontásért felelős enzim hiánya okozza.

Mivel a Gaucher-kór ritkának minősül, ezért a Cerdelga-t 2007. december 4-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Cerdelga hatóanyaga az eliglustát.

Hogyan kell alkalmazni a Cerdelga-t?

A Cerdelga csak receptre kapható, a kezelést pedig kizárólag az Gaucher-kór kezelésében jártas szakorvos kezdheti meg és felügyelheti.

A Cerdelga szájon át szedendő kapszulaként kapható. A gyógyszer nem vehető be grépfrúttal vagy annak levével együtt. A Cerdelga-kezeléshez a gyermekeknek le kell tudniuk nyelni a kapszulákat. A kezelés megkezdése előtt a betegeknek meg kell vizsgálni, hogy milyen gyorsan bontja le a szervezetük a gyógyszert. Azok a felnőttek, akiknek a szervezete normális sebességgel bontja le a gyógyszert, naponta kétszer 1 kapszulát vesznek be, míg azok, akiknél a gyógyszer lassan bomlik le, naponta egyszer 1 kapszulát szednek. Azok a gyermekek, akiknek a szervezete normális sebességgel bontja le a gyógyszert, naponta kétszer 2 kapszulát vesznek be, míg azok, akiknél a gyógyszer lassan bomlik le, naponta egyszer 1 kapszulát szednek.



Azok a betegek, akiknek a szervezete nagyon gyorsan lebontja a gyógyszert („ultragyors metabolizálók”), nem szedhetnek Cerdelga-t. Azok a betegek, akiknél nem végeztek tesztet, vagy nem egyértelmű a tesztjük, szintén nem szedhetik a gyógyszert.

További információért a Cerdelga alkalmazásáról olvassa el a betegtájékoztatót vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejt ki hatását a Cerdelga?

A Cerdelga hatóanyaga, az eliglusztát úgy működik, hogy gátolja a glükoszilceramid zsír termelődésében szerepet játszó enzim hatását. Mivel az 1-es típusú Gaucher-kór tüneteit ennek a zsírnak a felhalmozódása okozza a szervekben, például a lépben, a májban vagy a csontokban, a termelődésének csökkentése segít megakadályozni a felhalmozódását, és ez segíti az érintett szervek jobb működését.

Milyen előnyei voltak a Cerdelga alkalmazásának a vizsgálatok során?

A vizsgálatok azt mutatják, hogy a Cerdelga hatásos az 1-es típusú Gaucher-kór kezelésében, beleértve a megnagyobbodott lép és máj méretének csökkentését.

Egy 40 fős vizsgálatban korábban nem kezelt, 1. típusú Gaucher-kórban szenvedő betegeknél 9 hónapos kezelés után a Cerdelga-t szedő betegek lépének mérete 28%-kal csökkent, míg a placebót (hatóanyag nélküli kezelést) szedőké 2%-kal nőtt. A Cerdelga-t szedő betegeknél ezenkívül javultak a betegség egyéb jelei is, például csökkent a máj mérete, és nőtt a hemoglobin (a vörösvértestekben levő, oxigént szállító fehérje) szintje.

Egy másik vizsgálat 159 betegnél vizsgálta a Cerdelga-t, akiknek betegsége enzimpótló kezeléssel jól kontrollált volt. Ebben a vizsgálatban a betegség az egy évig Cerdelga-ra váltó betegek 85%-ánál, illetve az enzimpótló kezelést folytató betegek 94%-ánál maradt stabil.

Egy további vizsgálat, amelyet 51, 2 és 17 év közötti, 1-es és 3-as típusú Gaucher-kórban szenvedő gyermek bevonásával végeztek, azt mutatta, hogy a Cerdelga várhatóan hasonlóan fejt ki hatását gyermekeknél, mint felnőtteknél.

Milyen kockázatokkal jár a Cerdelga alkalmazása?

A Cerdelga alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Cerdelga leggyakoribb mellékhatása a diszpepszia (gyomorégés), amely 10-ből legfeljebb 1 felnőttet és 10-ből 1-nél több gyermeket érinthet.

A Cerdelga-t nem szedhetik májproblémával élő betegek, sem olyan gyógyszereket szedő betegek, amelyek befolyásolják a szervezet gyógyszer lebontó képességét.

Miért engedélyezték a Cerdelga forgalomba hozatalát az EU-ban?

A vizsgálatok szerint a Cerdelga hatásosan javítja az 1-es típusú Gaucher-kór tüneteit a korábban nem kezelt felnőttek többségénél, és stabilan tartja a betegséget a legtöbb, korábban enzimpótló terápiával (ERT) kezelt felnőttnél. Az ERT-ről Cerdelga-ra váltó betegek egy kisebb része (körülbelül 15%) azonban nem reagált optimálisan az egy évig tartó kezelés után. Ezeknél a betegeknél más kezelési lehetőségeket kell mérlegelni. Az ERT-ről Cerdelga-ra váltó összes beteg állapotát rendszeresen ellenőrizni kell a betegség progressziója szempontjából.

Ami a biztonságosságot illeti, a mellékhatások többnyire enyhék voltak és rövid ideig tartottak, de a Cerdelga-t forgalmazó társaságnak tovább kell vizsgálnia a gyógyszer hosszú távú biztonságosságát.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Cerdelga alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Cerdelga biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Cerdelga-t forgalmazó társaság a gyógyszert várhatóan felíró orvosok részére felírási útmutatót, a gyógyszerrel kezelt betegek számára pedig betegfigyelmeztető kártyát biztosít. Ezek az oktató anyagok segítenek biztosítani, hogy csak az 1-es típusú Gaucher-kórban szenvedő betegeket kezeljék Cerdelga-val, és a Cerdelga-t ne alkalmazzák egyes májproblémákkal küzdő betegeknél, sem olyan gyógyszerekkel együtt, amelyek jelentősen megváltoztathatják a Cerdelga szintjét a vérben. A társaság nyilvántartást is vezet majd a Cerdelga-val kezelt betegekről a gyógyszer biztonságosságának hosszú távú figyelése érdekében.

A Cerdelga biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Cerdelga alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Cerdelga alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Cerdelga-val kapcsolatos egyéb információ

2015. január 19-én a Cerdelga az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Cerdelga-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cerdelga.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 11-2024.