



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/4119/2025
EMA/H/C/003724

Cerdelga (*eliglustatas*)

Cerdelga apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Cerdelga ir kam jis vartojamas?

Cerdelga – tai vaistas, kuris skiriamas taikant ilgalaikį gydymą 1 tipo Gošė (*Gaucher*) liga sergantiems suaugusiems ir vaikams nuo 6 metų, sveriantiems ne mažiau kaip 15 kg, kurių liga gerai kontroliuojama taikant pakaitinę fermentų terapiją (PFT).

Gošė liga – tai genetinis sutrikimas, dėl kurio organizme, paprastai kepenyse, blužnyje ir kauluose, kaupiasi riebalai, vadinami gliukozilceramidu (arba gliukocerebrozidu). Dėl to išsivysto tokie simptomai kaip mažakraujystė (sumažėjęs raudonųjų kraujo ląstelių kiekis), nuovargis, be rimtos priežasties susidarančios kraujosruvos, padidėjusi blužnis ir kepenys, kaulų skausmas ir lūžiai. Šią ligą sukelia riebalus skaidančio fermento trūkumas.

Gošė liga laikoma reta, todėl 2007 m. gruodžio 4 d. Cerdelga buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti EMA [interneto svetainėje](#).

Cerdelga sudėtyje yra veikliosios medžiagos eliglustato.

Kaip vartoti Cerdelgą?

Cerdelga galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą turėtų pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis Gošė ligos gydymo patirties.

Cerdelga tiekiamas geriamųjų kapsulių forma. Šio vaisto negalima vartoti kartu su greipfrutais ar jų sultimis. Kad vaikus būtų galima gydyti Cerdelga, jie turi gebėti nuryti kapsules. Prieš pradedant gydymą, atliekami tyrimai, siekiant įvertinti, kiek greitai šis vaistas suskaidomas paciento organizme. Pacientams, kurių organizme šis vaistas skaidomas įprastu greičiu, reikia vartoti po vieną kapsulę du kartus per parą, o tiems, kurių organizme vaistas skaidomas lėtai, reikia vartoti po vieną kapsulę kartą per parą. Vaikams, kurių organizme šis vaistas skaidomas įprastu greičiu, reikia vartoti po dvi kapsules du kartus per parą, o tiems, kurių organizme vaistas skaidomas lėtai, reikia vartoti po vieną kapsulę kartą per parą.

Cerdelga negalima vartoti pacientams, kurių organizme šis vaistas skaidomas labai greitai (vadinamiesiems ultragreitiesiems metabolizuotojams). Šio vaisto taip pat negalima vartoti



pacientams, kuriems neatlikti tyrimai vaisto skaidymo greičiui išsiaiškinti arba kurių tyrimų rezultatai yra neaiškūs.

Daugiau informacijos apie Cerdelga vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Cerdelga?

Veiklioji Cerdelga medžiaga eliglustatas stabdo fermento, kuris dalyvauja riebalų, vadinamų gliukozilceramidu, gamyboje, veikimą. Kadangi šių riebalų kaupimasis tokiuose organuose kaip blužnis, kepenys ir kaulai sukelia 1 tipo Gošė ligos simptomus, šių riebalų gamybos slopinimas padeda išvengti jų kaupimosi, o tai padeda pagerinti atitinkamų organų veiklą.

Kokia Cerdelga nauda nustatyta tyrimų metu?

Tyrimai rodo, kad Cerdelga yra veiksmingas gydant 1 tipo Gošė ligą ir, be kita ko, siekiant sumažinti padidėjusią blužnį bei kepenis.

Atliekant tyrimą, kuriame dalyvavo 40 anksčiau negydytų 1 tipo Gošė liga sergančių pacientų, per devynis gydymo mėnesius pacientų, vartojusių Cerdelga, blužnis sumažėjo 28 proc., o vartojusių placebo (netikrą vaistą) – padidėjo 2 proc. Be to, Cerdelga vartojusiems pacientams palengvėjo kiti ligos požymiai, pvz., sumažėjo kepenys ir padidėjo hemoglobino (raudonosios kraujo ląstelėse esančio baltymo, kuris išnešioja deguonį po organizmą) kiekis.

Kitame Cerdelga tyrime dalyvavo 159 pacientai, kurių liga buvo gerai kontroliuojama taikant pakaitinę fermentų terapiją. Atliekant šį tyrimą, nustatyta, kad 85 proc. pacientų, kurie vieniems metams perėjo prie gydymo Cerdelga, ir 94 proc. pacientų, kurie tęsė pakaitinę fermentų terapiją, būklė išliko stabili.

Atlikus dar vieną tyrimą, kuriame dalyvavo 51 1 ir 3 tipo Gošė liga sergantis 2–17 metų vaikas, nustatyta, kad vaikų organizme Cerdelga turėtų veikti panašiai, kaip suaugusiųjų organizme.

Kokia rizika susijusi su Cerdelga vartojimu?

Išsamų visų Cerdelga šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Cerdelga šalutinis poveikis yra dispepsija (rėmuo), kuris gali pasireikšti rečiau kaip 1 suaugusiajam iš 10 ir daugiau kaip 1 vaikui iš 10.

Cerdelga draudžiama vartoti kai kuriems pacientams, turintiems kepenų funkcijos sutrikimų arba vartojantiems tam tikrus vaistus, galinčius pakenkti organizmo gebėjimui skaidyti šį vaistą.

Kodėl Cerdelga buvo registruotas ES?

Tyrimai rodo, kad daugumai anksčiau negydytų pacientų Cerdelga yra veiksmingas – palengvina 1 tipo Gošė ligos simptomus ir daugumai pacientų, kuriems anksčiau taikyta pakaitinė fermentų terapija (PFT), padeda išlaikyti stabilią būklę. Vis dėlto nedidelės dalies (maždaug 15 proc.) pacientų, kurie vieniems metams perėjo nuo PFT prie gydymo Cerdelga, atsakas į gydymą nebuvo optimalus. Šiems pacientams reikia skirti kitus galimus gydymo būdus. Visus pacientus, parėjusius nuo PFT prie gydymo Cerdelga, reikia nuolat stebėti dėl galimo ligos progresavimo.

Kalbant apie vaisto saugumą, dauguma atvejų Cerdelga šalutinis poveikis buvo lengvas ir trumpalaikis, tačiau juo prekiaujanti bendrovė turi toliau tirti ilgalaikį šio vaisto saugumą.

Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Cerdelga nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Cerdelga vartojimą?

Cerdelga prekiaujanti bendrovė gydytojams, kurie turėtų skirti šį vaistą savo pacientams, parengs vaistus skiriančio gydytojo vadovą, o pacientams, kuriems šis vaistas bus skiriamas, – paciento įspėjamąją kortelę. Ši mokomoji medžiaga padės užtikrinti, kad Cerdelga būtų gydomi tik 1 tipo Gošė liga sergantys pacientai ir kad Cerdelga nebūtų skiriamas kai kuriems kepenų funkcijos sutrikimų turintiems pacientams ir nebūtų skiriamas kartu su vaistais, dėl kurių poveikio gali labai pasikeisti Cerdelga koncentracija kraujyje. Taip pat bendrovė registruos Cerdelga gydomus pacientus, kad galėtų įvertinti ilgalaikį šio vaisto saugumą.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Cerdelga vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Cerdelga vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Cerdelga šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Cerdelga

Cerdelga buvo registruotas visoje ES 2015 m. sausio 19 d.

Daugiau informacijos apie Cerdelga rasite Agentūros tinklalapyje adresu:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cerdelga.

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2024-11.