

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

Cerdelga (*eliglustat*)

Een overzicht van Cerdelga en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Cerdelga en wanneer wordt het voorgeschreven?

Cerdelga is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor langdurige behandeling van de ziekte van Gaucher type 1 bij volwassenen en bij kinderen vanaf 6 jaar met een gewicht van ten minste 15 kg, bij wie de ziekte goed onder controle wordt gehouden met enzymvervangingstherapie (enzyme replacement therapy, ERT).

De ziekte van Gaucher is een genetische aandoening waarbij het vet glucosylceramide (of glucocerebroside) zich ophoopt in het lichaam, met name in de lever, milt en botten. Dit veroorzaakt symptomen zoals bloedarmoede (weinig rode bloedcellen), vermoeidheid, blauwe plekken, een vergrote milt en lever, pijn in de botten en botbreuken. De ziekte wordt veroorzaakt door een gebrek aan een enzym dat vet afbreekt.

De ziekte van Gaucher is zeldzaam, en Cerdelga werd op 4 december 2007 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de [website](#) van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Cerdelga bevat de werkzame stof eliglustat.

Hoe wordt Cerdelga gebruikt?

Cerdelga is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door en plaatsvinden onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van de ziekte van Gaucher.

Cerdelga is verkrijgbaar in de vorm van capsules die via de mond moeten worden ingenomen. Het mag niet samen met grapefruit of grapefruitsap worden ingenomen. Om met Cerdelga te worden behandeld, moeten kinderen de capsules kunnen doorslikken. Voordat de behandeling wordt gestart, wordt de patiënt getest om te bekijken hoe snel zijn/haar lichaam het geneesmiddel afbreekt. Volwassenen die het geneesmiddel met een normale snelheid afbreken, nemen tweemaal daags één capsule in; volwassenen die het geneesmiddel langzaam afbreken, nemen eenmaal daags één capsule in. Kinderen die het geneesmiddel met een normale snelheid afbreken, nemen tweemaal daags twee capsules in; kinderen die het geneesmiddel langzaam afbreken, nemen eenmaal daags één capsule in.

Patiënten van wie het lichaam dit geneesmiddel zeer snel afbreekt ('ultrasnelle metaboliseerders'), mogen geen Cerdelga innemen. Patiënten die niet zijn getest of van wie de resultaten van de test niet duidelijk zijn, mogen dit geneesmiddel ook niet innemen.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Cerdelga.

Hoe werkt Cerdelga?

De werkzame stof in Cerdelga, eliglustat, remt de werking van een enzym dat betrokken is bij de aanmaak van het vet glucosylceramide. Aangezien de ophoping van dit vet in organen als de milt, lever en botten verantwoordelijk is voor de symptomen van de ziekte van Gaucher type 1, helpt het verminderen van de aanmaak ervan om de ophoping te voorkomen, en helpt daardoor de getroffen organen om beter te functioneren.

Welke voordelen bleek Cerdelga tijdens de studies te hebben?

Uit studies is gebleken dat Cerdelga werkzaam is bij het behandelen van de ziekte van Gaucher type 1, inclusief het verkleinen van het volume van een vergrote milt en lever.

In een studie onder 40 niet eerder behandelde patiënten met de ziekte van Gaucher type 1 was bij patiënten die Cerdelga innamen, na negen maanden behandeling sprake van afname van het miltvolume met 28 %, tegenover een toename met 2 % bij patiënten die een placebo (een schijnbehandeling) kregen. Patiënten die Cerdelga gebruikten, vertoonden tevens een verbetering van andere verschijnselen van de ziekte, zoals een afname van het levervolume en een toegenomen concentratie hemoglobine (het eiwit in rode bloedcellen dat zuurstof door het lichaam vervoert).

In een andere studie werd Cerdelga onderzocht bij 159 patiënten bij wie de ziekte goed onder controle was met enzymvervangingstherapie. In deze studie bleef de ziekte stabiel bij 85 % van de patiënten die voor de duur van een jaar op Cerdelga overstapten, en bij 94 % van de patiënten die doorgingen met de enzymvervangingstherapie.

Een verder onderzoek onder 51 kinderen in de leeftijd van 2 tot 17 jaar met de ziekte van Gaucher typen 1 en 3 toonde aan dat Cerdelga bij kinderen naar verwachting op dezelfde manier werkt als bij volwassenen.

Welke risico's houdt het gebruik van Cerdelga in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor het gebruik van Cerdelga.

De meest voorkomende bijwerking van Cerdelga is dyspepsie (brandend maagzuur), die bij maximaal 1 op de 10 volwassenen en bij meer dan 1 op de 10 kinderen kan optreden.

Cerdelga mag niet worden ingenomen door sommige patiënten met leverproblemen of door patiënten die bepaalde geneesmiddelen gebruiken die het vermogen van het lichaam om het geneesmiddel af te breken kunnen verstoren.

Waarom is Cerdelga geregistreerd in de EU?

Uit studies is gebleken dat Cerdelga effectief is in het verbeteren van de symptomen van de ziekte van Gaucher type 1 bij een meerderheid van de volwassenen die nog niet eerder waren behandeld, en in het stabiel houden van de ziekte bij de meeste volwassenen die eerder werden behandeld met

enzymvervangingstherapie (ERT). Een minderheid van de patiënten (ongeveer 15 %) die van ERT op Cerdelga overstapten, reageerde na één jaar behandeling echter niet optimaal. Voor deze patiënten dienen andere behandelopties te worden overwogen. Alle patiënten die van ERT op Cerdelga overstappen, dienen regelmatig te worden gecontroleerd op ziekteprogressie.

Wat de veiligheid betreft, waren de bijwerkingen meestal licht van aard en van korte duur, maar het bedrijf dat Cerdelga in de handel brengt, moet de veiligheid van het geneesmiddel op lange termijn nader onderzoeken.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Cerdelga groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Cerdelga te waarborgen?

Het bedrijf dat Cerdelga in de handel brengt, zal artsen van wie verwacht wordt dat ze het geneesmiddel zullen voorschrijven, voorzien van een voorschrijfgids, en patiënten die het geneesmiddel voorgeschreven krijgen, voorzien van een patiëntenwaarschuwingskaart. Dit voorlichtingsmateriaal zal helpen waarborgen dat alleen patiënten met de ziekte van Gaucher type 1 met Cerdelga worden behandeld en dat Cerdelga niet wordt gebruikt bij sommige patiënten met leverproblemen en evenmin samen met geneesmiddelen die de concentratie van Cerdelga in het bloed significant kunnen wijzigen. Het bedrijf zal ook dossiers bijhouden van patiënten die met Cerdelga worden behandeld om naar de veiligheid van het geneesmiddel op lange termijn te kijken.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Cerdelga zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Cerdelga continu gevolgd. Bijwerkingen waargenomen voor Cerdelga worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Cerdelga

Op 19 januari 2015 is een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Cerdelga verleend.

Meer informatie over Cerdelga is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cerdelga.

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 11-2024.