



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

## Cerdelga (eliglustato)

Um resumo sobre Cerdelga e por que está autorizado na UE

### O que é Cerdelga e para que é utilizado?

Cerdelga é um medicamento utilizado no tratamento a longo prazo da doença de Gaucher de tipo 1 em adultos e crianças a partir dos 6 anos de idade, que pesem pelo menos 15 kg, cuja doença é bem controlada por terapêutica de substituição enzimática (TSE).

A doença de Gaucher é uma doença genética na qual uma gordura denominada glicosilceramida (ou glicocerebrosídeo) se acumula no organismo, geralmente no fígado, no baço e nos ossos. Isto provoca sintomas como anemia (níveis baixos de glóbulos vermelhos), cansaço, hematomas de surgimento fácil, aumento do volume do baço e do fígado, e dor e fraturas nos ossos. A doença é causada pela falta de uma enzima responsável por degradar a gordura.

A doença de Gaucher é uma doença rara, e Cerdelga foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 4 de dezembro de 2007. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas no [sítio Web](#) da EMA.

Cerdelga contém a substância ativa eliglustato.

### Como se utiliza Cerdelga?

Cerdelga só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento da doença de Gaucher.

Cerdelga está disponível na forma de cápsulas para tomar por via oral. Não deve ser tomado em conjunto com toranja ou o seu sumo. Para serem tratadas com Cerdelga, as crianças devem ser capazes de engolir as cápsulas. Antes de iniciar o tratamento, o doente é testado para verificar a rapidez com que o seu organismo degrada o medicamento. Os adultos que degradam o medicamento a uma velocidade normal tomam 1 cápsula duas vezes por dia, enquanto os adultos que degradam o medicamento lentamente tomam 1 cápsula uma vez por dia. As crianças que degradam o medicamento a uma velocidade normal tomam 2 cápsulas duas vezes por dia, enquanto as crianças que degradam o medicamento lentamente tomam 1 cápsula uma vez por dia.



Os doentes cujos organismos degradam este medicamento muito rapidamente («metabolizadores ultrarrápidos») não devem tomar Cerdelga. Os doentes que não foram testados ou cujos resultados do teste não são claros também não devem tomar este medicamento.

Para mais informações sobre a utilização de Cerdelga, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

## **Como funciona Cerdelga?**

A substância ativa de Cerdelga, o eliglustato, atua bloqueando a ação de uma enzima envolvida na produção da gordura glicosilceramida. Dado que a acumulação desta gordura em órgãos como o baço, o fígado e os ossos é responsável pelos sintomas da doença de Gaucher de tipo 1, reduzir a produção de glicosilceramida contribui para evitar a sua acumulação, ajudando assim os órgãos afetados a funcionarem melhor.

## **Quais os benefícios demonstrados por Cerdelga durante os estudos?**

Os estudos demonstram que Cerdelga é eficaz no tratamento da doença de Gaucher de tipo 1, incluindo na redução do tamanho de baços e fígados aumentados.

Num estudo que incluiu 40 doentes com doença de Gaucher de tipo 1 não tratados anteriormente, os doentes que tomaram Cerdelga apresentaram uma redução de 28 % no tamanho do baço, em comparação com um aumento de 2 % nos doentes que tomaram o placebo (um tratamento simulado) após 9 meses de tratamento. Os doentes que tomaram Cerdelga apresentaram igualmente uma melhoria de outros sinais da doença, tais como uma redução do tamanho do fígado e um aumento dos níveis de hemoglobina (a proteína nos glóbulos vermelhos que transporta o oxigénio).

Outro estudo analisou Cerdelga em 159 doentes cuja doença estava bem controlada por terapêutica de substituição enzimática. Neste estudo, a doença manteve-se estável em 85 % dos doentes que mudaram para Cerdelga durante um ano e em 94 % dos doentes que continuaram a terapêutica de substituição enzimática.

Um estudo adicional realizado em 51 crianças com idades compreendidas entre os 2 e os 17 anos com doença de Gaucher de tipo 1 e 3 demonstrou que se prevê que Cerdelga atue de forma semelhante nas crianças e nos adultos.

## **Quais são os riscos associados a Cerdelga?**

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Cerdelga, consulte o Folheto Informativo.

O efeito secundário mais frequente associado a Cerdelga é a dispepsia (azia), que pode afetar 1 em cada 10 adultos e mais de 1 em cada 10 crianças.

Cerdelga não deve ser tomado por alguns doentes com problemas no fígado ou que tomem determinados medicamentos que possam interferir com a capacidade do organismo para degradar o medicamento.

## **Por que está Cerdelga autorizado na UE?**

Os estudos demonstram que Cerdelga é eficaz na melhoria dos sintomas da doença de Gaucher de tipo 1 na maioria dos adultos que não tinham sido tratados anteriormente, e em manter a doença estável na maioria dos adultos tratados anteriormente com terapêutica de substituição enzimática

(TSE). No entanto, uma minoria de doentes (cerca de 15 %) que mudou da TSE para Cerdelga não apresentou uma resposta ideal após um ano de tratamento. Para estes doentes, devem ser consideradas outras opções de tratamento. Todos os doentes que mudam da TSE para Cerdelga devem ser monitorizados regularmente quanto à progressão da doença.

Relativamente à segurança, os efeitos secundários foram, na sua maioria, ligeiros e de curta duração, mas a empresa que comercializa Cerdelga deve investigar mais aprofundadamente a segurança a longo prazo do medicamento.

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Cerdelga são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

## **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Cerdelga?**

A empresa que comercializa Cerdelga fornecerá aos médicos que se prevê que venham a prescrever o medicamento um guia para o prescritor e aos doentes a quem o medicamento é prescrito um cartão de alerta do doente. Estes materiais educacionais ajudarão a garantir que apenas os doentes com doença de Gaucher de tipo 1 são tratados com Cerdelga e que Cerdelga não é utilizado em alguns doentes com problemas no fígado e em associação com medicamentos que possam alterar significativamente os níveis de Cerdelga no sangue. A empresa irá também manter um registo dos doentes tratados com Cerdelga para analisar a segurança do medicamento a longo prazo.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Cerdelga.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Cerdelga são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Cerdelga são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

## **Outras informações sobre Cerdelga**

A 19 de janeiro de 2015, Cerdelga recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a UE.

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cerdelga](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cerdelga).

Este resumo foi atualizado pela última vez em 11-2024.