



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cerdelga (*eliglustat*)

Prezentare generală a Cerdelga și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Cerdelga și pentru ce se utilizează?

Cerdelga este un medicament utilizat pentru tratamentul de lungă durată al bolii Gaucher de tip 1 la adulți și la copii începând cu vârsta de 6 ani, cu greutatea de cel puțin 15 kg, la care boala este bine controlată prin terapie de substituție enzimatică (TSE).

Boala Gaucher este o afecțiune genetică în care o lipidă numită glucozilceramidă (sau glucocerebrozidă) se acumulează în organism, de obicei în ficat, splină și oase. Această acumulare cauzează simptome ca anemie (număr mic de globule roșii), oboseală, apariția cu ușurință a vânătăilor, splină și ficat mărite și dureri și fracturi ale oaselor. Boala este cauzată de lipsa unei enzime responsabile pentru descompunerea lipidei.

Boala Gaucher este rară, iar Cerdelga a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 4 decembrie 2007. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul](#) EMA.

Cerdelga conține substanța activă eliglustat.

Cum se utilizează Cerdelga?

Cerdelga se poate obține numai pe bază de prescripție medicală și tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de către un medic cu experiență în gestionarea terapeutică a bolii Gaucher.

Cerdelga este disponibil sub formă de capsule cu administrare orală. Nu se administrează împreună cu grepfrut sau suc de grepfrut. Pentru a fi tratați cu Cerdelga, copiii trebuie să poată înghiți capsulele. Înainte de inițierea tratamentului, pacientul este testat pentru a vedea cât de repede metabolizează organismul acestuia medicamentul. Adulții care metabolizează medicamentul cu viteză normală iau 1 capsulă de două ori pe zi, iar cei care metabolizează medicamentul lent iau 1 capsulă o dată pe zi. Copiii care metabolizează medicamentul cu viteză normală iau 2 capsule de două ori pe zi, iar cei care metabolizează medicamentul lent iau 1 capsulă o dată pe zi.

Pacienții ale căror organisme metabolizează acest medicament foarte repede („metabolizatori ultrarapizi”) nu trebuie să ia Cerdelga. De asemenea, nici pacienții care nu au fost testați sau la care rezultatele testelor nu sunt concludente nu trebuie să ia acest medicament.



Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Cerdelga, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Cerdelga?

Substanța activă din Cerdelga, eliglustatul, acționează prin blocarea acțiunii unei enzime implicate în producerea lipidei glucozilceramidă. Deoarece acumularea acestei lipide în organe ca splina, ficatul și oasele este responsabilă pentru simptomele bolii Gaucher de tip 1, reducerea producerii acestei lipide ajută la prevenirea acumulării sale și, astfel, ajută organele afectate să funcționeze mai bine.

Ce beneficii a prezentat Cerdelga pe parcursul studiilor?

Studiile arată că Cerdelga este eficace în tratarea bolii Gaucher de tip 1, inclusiv în reducerea dimensiunii splinei și ficatului mărite.

Într-un studiu pe 40 de pacienți cu boala Gaucher de tip 1 netratați anterior, pacienții care au luat Cerdelga au avut o reducere a mărimii splinei de 28 %, față de o creștere de 2 % la cei care au luat placebo (un preparat inactiv) după 9 luni de tratament. De asemenea, pacienții care au luat Cerdelga au prezentat o ameliorare a altor semne ale bolii, cum ar fi reducerea mărimii ficatului și creșterea nivelurilor de hemoglobină (proteina din globulele roșii care transportă oxigenul).

Alt studiu a analizat administrarea Cerdelga la 159 de pacienți la care boala era ținută sub control în mod corespunzător prin terapia de substituție enzimatică. În acest studiu, boala a rămas stabilă la 85 % din pacienții care au trecut la Cerdelga timp de un an și la 94 % din pacienții care au continuat terapia de substituție enzimatică.

Un studiu suplimentar la 51 de copii și adolescenți cu vârste între 2 și 17 ani, cu boala Gaucher de tip 1 și 3, a arătat că se preconizează că Cerdelga funcționează la fel la copii ca la adulți.

Care sunt riscurile asociate cu Cerdelga?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Cerdelga, citiți prospectul.

Cea mai frecventă reacție adversă asociată cu Cerdelga este dispepsia (arsuri la stomac), care poate afecta cel mult 1 adult din 10 și mai mult de 1 copil din 10.

Cerdelga este contraindicat la anumiți pacienți cu probleme hepatice sau care iau anumite medicamente care pot interfera cu capacitatea organismului de a metaboliza medicamentul.

De ce a fost autorizat Cerdelga în UE?

Studiile arată că Cerdelga este eficace în ameliorarea simptomelor bolii Gaucher de tip 1 la majoritatea adulților netratați anterior și în menținerea stabilității bolii la majoritatea adulților tratați anterior cu terapie de substituție enzimatică (TSE). Cu toate acestea, un număr mic de pacienți (aproximativ 15 %) care au trecut de la TSE la Cerdelga nu au răspuns optim după un tratament de un an. Pentru acești pacienți trebuie avute în vedere alte opțiuni de tratament. La toți pacienții care trec de la TSE la Cerdelga trebuie monitorizată regulat progresia bolii.

În ceea ce privește siguranța, reacțiile adverse au fost în general ușoare și de scurtă durată, dar compania care comercializează Cerdelga trebuie să investigheze suplimentar siguranța pe termen lung a medicamentului.

Agencia Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Cerdelga sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Cerdelga?

Compania care comercializează Cerdelga va furniza medicilor care se preconizează că vor prescrie medicamentul un ghid pentru medicii prescriptori, iar pacienților cărora li se prescrie medicamentul un card de avertizare pentru pacient. Aceste materiale educaționale vor contribui la asigurarea faptului că numai pacienții cu boala Gaucher de tip 1 sunt tratați cu Cerdelga și că medicamentul nu se utilizează la anumiți pacienți cu probleme hepatice și împreună cu medicamente care pot modifica semnificativ nivelurile din sânge ale Cerdelga. De asemenea, compania va ține evidența pacienților tratați cu Cerdelga pentru a urmări siguranța pe termen lung a medicamentului.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Cerdelga, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Cerdelga sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate pentru Cerdelga sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Cerdelga

Cerdelga a primit autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 19 ianuarie 2015.

Mai multe informații despre Cerdelga se pot găsi pe site-ul agenției:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cerdelga.

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 11-2024.