



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cerdelga (*eliglustat*)

Sammanfattning av Cerdelga och varför det är godkänt inom EU

Vad är Cerdelga och vad används det för?

Cerdelga är ett läkemedel som används för långtidsbehandling av Gauchers sjukdom typ 1 hos vuxna och barn från 6 års ålder som väger minst 15 kg och vars sjukdom är väl kontrollerad med enzymsättningsbehandling (ERT).

Gauchers sjukdom är ett genetiskt tillstånd, vid vilket ett fettämne som kallas glukosylceramid (eller glukocerebrosid) inlagras i kroppen, vanligtvis i levern, mjälten och benvävnaden. Detta orsakar symtom såsom anemi (låga halter av röda blodkroppar), trötthet, lätthet att få blåmärken, förstorad mjälte och lever, smärta och frakturer i benvävnaden. Sjukdomen orsakas av bristen på ett enzym som ansvarar för nedbrytningen av fettämnena.

Gauchers sjukdom är sällsynt och Cerdelga klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 4 december 2007. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på EMA:s [webbplats](#).

Cerdelga innehåller den aktiva substansen eliglustat.

Hur används Cerdelga?

Cerdelga är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla Gauchers sjukdom.

Cerdelga finns som kapslar som tas genom munnen. Det ska inte tas tillsammans med grapefrukt eller grapefruktjuice. För att barn ska kunna behandlas med Cerdelga måste de kunna svälja kapslarna. Innan behandlingen påbörjas testas patienterna för att se hur snabbt deras kroppar bryter ner läkemedlet. Vuxna som bryter ner läkemedlet i normal takt tar 1 kapsel två gånger om dagen, medan de som bryter ner läkemedlet långsamt tar 1 kapsel en gång om dagen. Barn som bryter ner läkemedlet i normal takt tar 2 kapslar två gånger om dagen, medan de som bryter ner läkemedlet långsamt tar 1 kapsel en gång om dagen.

Patienter som bryter ner detta läkemedel mycket snabbt ("ultrasnabba metaboliserare") bör inte ta Cerdelga. Patienter som inte har testats eller som har oklara resultat av testet bör heller inte ta detta läkemedel.



För mer information om hur du använder Cerdelga, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Cerdelga?

Den aktiva substansen i Cerdelga, eliglustat, verkar genom att blockera effekten av ett enzym som deltar i framställningen av fettämnet glukosylceramid. Eftersom inlagringen av detta fettämne i organ såsom mjälten, levern och benvävnaden ligger bakom symtomen på Gauchers sjukdom typ 1 kan en minskning av dess framställning hjälpa till att förhindra inlagringen, och därigenom hjälpa de drabbade organen att fungera bättre.

Vilka fördelar med Cerdelga har visats i studierna?

Studier visar att Cerdelga är effektivt vid behandling av Gauchers sjukdom typ 1, bland annat genom att minska storleken på en förstorad mjälte och lever.

I en studie omfattande 40 tidigare obehandlade patienter med Gauchers sjukdom typ 1 sågs en 28-procentig minskning av mjältens storlek hos patienter som tog Cerdelga, jämfört med en 2-procentig ökning hos dem som tog placebo (overksam behandling) efter 9 månaders behandling. Hos patienter som tog Cerdelga framkom också en förbättring av andra tecken på sjukdomen såsom en minskning av leverns storlek och ökade nivåer av hemoglobin (proteinet i de röda blodkropparna som transporterar syre).

I en annan studie undersöktes Cerdelga hos 159 patienter vars sjukdom kontrollerades väl genom enzymsättningsbehandling. I denna studie förblev sjukdomen stabil hos 85 procent av patienterna som gick över till Cerdelga under ett år och hos 94 procent av patienterna som fortsatte på sin enzymsättningsbehandling.

En ytterligare studie på 51 barn i åldern 2–17 år med Gauchers sjukdom typ 1 och 3 visade att Cerdelga förväntas ha samma effekt på barn som på vuxna.

Vilka är riskerna med Cerdelga?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Cerdelga finns i bipacksedeln.

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Cerdelga är dyspepsi (halsbränna), som kan förekomma hos upp till 1 av 10 vuxna och fler än 1 av 10 barn.

Cerdelga får inte tas av vissa patienter med leverproblem eller av dem som tar vissa bestämda läkemedel som kan störa kroppens förmåga att bryta ner läkemedlet.

Varför är Cerdelga godkänt i EU?

Studier visar att Cerdelga är effektivt när det gäller att förbättra symtomen på Gauchers sjukdom typ 1 hos de flesta vuxna som inte tidigare behandlats, och när det gäller att hålla sjukdomen stabil hos de flesta vuxna som tidigare behandlats med enzymsättningsbehandling (ERT). En minoritet av patienterna (omkring 15 procent) som bytte från enzymsättningsbehandling till Cerdelga svarade dock inte optimalt efter ett års behandling. För dessa patienter bör andra behandlingsalternativ övervägas. Alla patienter som byter från enzymsättningsbehandling till Cerdelga bör regelbundet övervakas med avseende på sjukdomsprogression.

När det gäller säkerheten var biverkningarna mestadels lindriga och kortvariga, men företaget som marknadsför Cerdelga måste ytterligare undersöka läkemedlets långsiktiga säkerhet.

Europeiska läkemedelsmyndigheten fann att fördelarna med Cerdelga är större än riskerna och att Cerdelga kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Cerdelga?

Företaget som marknadsför Cerdelga kommer att förse läkare som förväntas förskriva läkemedlet med riktlinjer för förskrivare och patienter som ordinerar läkemedlet med ett patientkort. Detta utbildningsmaterial kommer att bidra till att säkerställa att endast patienter med Gauchers sjukdom typ 1 behandlas med Cerdelga och att Cerdelga inte ges till vissa patienter med leverproblem och tillsammans med läkemedel som väsentligt kan förändra halterna av Cerdelga i blodet. Företaget kommer även att föra ett register över patienter som behandlas med Cerdelga för att undersöka läkemedlets långsiktiga säkerhet.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Cerdelga har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Cerdelga kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Cerdelga utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Cerdelga

Den 19 januari 2015 beviljades Cerdelga ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Cerdelga finns på EMA:s webbplats

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

Denna sammanfattning uppdaterades senast 11-2024.