



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/393107/2018  
EMA/H/C/003724

## Cerdelga (*eliglustat*)

Información general sobre Cerdelga y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

### ¿Qué es Cerdelga y para qué se utiliza?

Cerdelga es un medicamento que se utiliza para el tratamiento a largo plazo de la enfermedad de Gaucher de tipo 1 en adultos.

La enfermedad de Gaucher es un trastorno genético en el que se acumula una grasa denominada glucosilceramida (o glucocerebrósido) en el organismo, por lo general en el hígado, el bazo y los huesos. Esto provoca síntomas como anemia (bajo recuento de glóbulos rojos), cansancio, facilidad para que se formen hematomas, aumento de tamaño del bazo y el hígado, dolor de huesos y fracturas. La enfermedad se produce por la ausencia de una enzima que degrada las grasas.

La enfermedad de Gaucher es «rara», y Cerdelga ha sido designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 04 de diciembre de 2007. Puede encontrar información adicional sobre la designación como medicamento huérfano en: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Cerdelga contiene el principio activo eliglustat.

### ¿Cómo se usa Cerdelga?

Cerdelga se presenta en forma de cápsulas (84 mg) para tomar por vía oral. Antes de comenzar el tratamiento, se realiza al paciente una prueba para comprobar la velocidad a la que su organismo descompone el medicamento. Los pacientes que descomponen el medicamento a una velocidad normal deben tomar 1 cápsula dos veces al día, mientras que los que lo descomponen despacio deben tomar 1 cápsula una vez al día.

No deben tomar Cerdelga los pacientes cuyo organismo lo degrade con gran rapidez («metabolizadores ultrarrápidos»). Tampoco se debe administrar el medicamento a los pacientes a los que no se les haya realizado la prueba o en los que los resultados de la prueba no sean concluyentes.



Cerdelga solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento deberá iniciarlo y supervisarlo un médico con experiencia en el tratamiento de la enfermedad de Gaucher. Para más información sobre el uso de Cerdelga, consulte el prospecto o contacte con su médico o farmacéutico.

## **¿Cómo actúa Cerdelga?**

El principio activo de Cerdelga, el eliglustat, actúa bloqueando la acción de una enzima implicada en la producción de la grasa glucosilceramida. Debido a su acumulación en órganos como el bazo, el hígado y los huesos, esta grasa es responsable de los síntomas de la enfermedad de Gaucher de tipo 1. Al reducir su producción, se contribuye a evitar la acumulación y, por tanto, a mejorar el funcionamiento de los órganos afectados.

## **¿Qué beneficios ha demostrado tener Cerdelga en los estudios realizados?**

Los estudios demuestran que Cerdelga es eficaz para tratar la enfermedad, así como para reducir el tamaño del bazo y el hígado.

En un estudio prospectivo en el que participaron 40 pacientes con enfermedad de Gaucher de tipo 1 que no habían recibido tratamiento previo, los que recibieron Cerdelga experimentaron una reducción del 28 % en el tamaño del bazo, en comparación con un 2 % de aumento en los que tomaron placebo (tratamiento ficticio) después de 9 meses de tratamiento. Los pacientes que tomaron Cerdelga también mostraron una mejoría de otros signos de la enfermedad, como reducción del tamaño del hígado y aumento de los niveles de hemoglobina (la proteína de los glóbulos rojos que transporta el oxígeno).

Otro estudio analizó el uso de Cerdelga en 159 pacientes cuya enfermedad estaba bien controlada con un tratamiento de sustitución enzimática. En este estudio, la enfermedad se mantuvo estable en el 85 % de los pacientes que pasaron a recibir Cerdelga durante un año y en el 94 % de los pacientes que continuaron con el tratamiento de sustitución enzimática.

## **¿Cuál es el riesgo asociado a Cerdelga?**

El efecto adverso más frecuente con Cerdelga es la dispepsia (ardor de estómago), que afecta aproximadamente a 6 de cada 100 pacientes. El efecto adverso grave más frecuente es el síncope, en 8 de cada 1 000 pacientes. La mayoría de los efectos adversos son leves y de corta duración. Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados con Cerdelga, consultar el prospecto.

Cerdelga no debe administrarse a algunos pacientes con problemas hepáticos ni a los que tomen determinados medicamentos que pueden interferir en la capacidad del organismo para degradar el medicamento. La lista completa de restricciones se puede consultar en el prospecto.

## **¿Por qué se ha autorizado Cerdelga en la UE?**

Se ha demostrado en los estudios que Cerdelga es eficaz para mejorar los síntomas de la enfermedad en la mayoría de los pacientes con enfermedad de Gaucher de tipo 1 no tratados previamente, así como para mantener la enfermedad estable en la mayoría de los pacientes que no habían recibido anteriormente un tratamiento de sustitución enzimática. Sin embargo, una minoría de los pacientes (aproximadamente el 15 %) que cambiaron el tratamiento de sustitución enzimática por Cerdelga no respondieron de forma óptima después de un año de tratamiento. Para estos pacientes deben estudiarse otras opciones de tratamiento. En todos los pacientes que cambien del tratamiento de sustitución enzimática debe vigilarse regularmente la progresión de la enfermedad.

Por lo que respecta a la seguridad, los efectos adversos fueron en su mayoría leves y transitorios, aunque se recomendó investigar más a fondo la seguridad a largo plazo del medicamento.

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Cerdelga son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

## **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Cerdelga?**

La compañía que comercializa Cerdelga proporcionará a médicos y pacientes materiales formativos para garantizar que solo reciban tratamiento con Cerdelga los pacientes con enfermedad de Gaucher de tipo 1 y que no se utilice en algunos pacientes con problemas hepáticos ni junto con otros medicamentos que puedan alterar significativamente sus niveles en sangre. A todos los pacientes a los que se prescriba Cerdelga se les entregará una tarjeta de alerta. Todos los profesionales sanitarios que previsiblemente vayan a prescribir Cerdelga recibirán una guía del prescriptor. La compañía también mantendrá un registro de pacientes tratados con Cerdelga para estudiar la seguridad a largo plazo del medicamento.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Cerdelga se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Cerdelga se controlan permanentemente. Los efectos adversos notificados con Cerdelga son evaluados cuidadosamente, adoptándose las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a las pacientes.

## **Otra información sobre Cerdelga**

Cerdelga ha recibido una autorización de comercialización válida en toda la UE el 19 de enero de 2015.

Puede encontrar información adicional sobre Cerdelga en la página web de la Agencia:  
[ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports.](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports)

Fecha de la última actualización de este resumen: 06-2018.