

CERDELGA 21 mg kapsułki twarde, 84 mg kapsułki twarde. Cerdelga 21 mg kapsułki twarde: Każda kapsułka zawiera 21 mg eliglustatu (w postaci winianu). *Substancja pomocnicza o znanym działaniu:* Każda kapsułka zawiera 27 mg laktozy (w postaci jednowodnej). Cerdelga 84 mg kapsułki twarde: Każda kapsułka zawiera 84,4 mg eliglustatu (w postaci winianu). *Substancja pomocnicza o znanym działaniu:* Każda kapsułka zawiera 106 mg laktozy (w postaci jednowodnej). **Wskazania do stosowania** Dorośli: Produkt leczniczy Cerdelga jest wskazany do długotrwałego leczenia dorosłych pacjentów z chorobą Gauchera typu 1 (GD1, ang. *Gaucher disease type 1*) ze słabym (PM, ang. *poor metabolisers*), średnim (IM, ang. *intermediate metaboliser*) lub szybkim (EM, ang. *extensive metaboliser*) metabolizmem z udziałem izoenzymu CYP2D6. Dzieci i młodzież (w wieku od 6 do 18 lat) o masie ciała ≥ 15 kg: Produkt leczniczy Cerdelga jest wskazany do leczenia choroby Gauchera typu 1 (GD1) u dzieci i młodzieży w wieku 6 lat i starszych, o masie ciała co najmniej 15 kg ze słabym (PM), średnim (IM) lub szybkim (EM) metabolizmem z udziałem izoenzymu CYP2D6, u których uzyskano stabilność dzięki enzymatycznej terapii zastępczej (ERT, ang. *enzyme replacement therapy*). **Dawkowanie i sposób podawania** Leczenie produktem leczniczym Cerdelga powinno być rozpoczynane i nadzorowane przez lekarza posiadającego doświadczenie w leczeniu choroby Gauchera. Dobór pacjentów Przed rozpoczęciem leczenia produktem leczniczym Cerdelga, u pacjentów należy określić genotyp CYP2D6 za pomocą badania genetycznego w celu określenia statusu metabolizmu z udziałem izoenzymu CYP2D6. Eliglustatu nie należy stosować u pacjentów z ultraszybkim (URM, ang. *ultra-rapid metaboliser*) lub nieokreślonym metabolizmem z udziałem izoenzymu CYP2D6. Dawkowanie Dorośli U pacjentów z IM i EM zalecana dawka eliglustatu to 84 mg dwa razy na dobę. U pacjentów z PM zalecana dawka eliglustatu to 84 mg raz na dobę. Dzieci i młodzież (w wieku od 6 do 18 lat) o masie ciała ≥ 15 kg **Masa ciała ≥ 50 kg** EM i IM z udziałem izoenzymu CYP2D6: 84 mg dwa razy na dobę, PM z udziałem izoenzymu CYP2D6: 84 mg raz na dobę; **Masa ciała od $25 < 50$ kg** EM i IM z udziałem izoenzymu CYP2D6: 84 mg dwa razy na dobę, PM z udziałem izoenzymu CYP2D6: 42 mg raz na dobę; **Masa ciała od $15 < 25$ kg** EM i IM z udziałem izoenzymu CYP2D6: 42 mg dwa razy na dobę, PM z udziałem izoenzymu CYP2D6: 21 mg raz na dobę. Produkt leczniczy Cerdelga należy podawać doustnie dzieciom, które mogą połknąć kapsułkę. *Pominięta dawka* W przypadku pominięcia dawki, należy przyjąć przepisaną dawkę w porze przewidzianej na kolejną dawkę; nie należy podwajać kolejnej dawki. *Osoby w podeszłym wieku* Istnieje ograniczone doświadczenie w leczeniu eliglustatem osób w podeszłym wieku. Dane wskazują, że dostosowanie dawki nie jest konieczne. *Pacjenci z zaburzeniami czynności wątroby*

Rodzaj metabolizmu z udziałem izoenzymu CYP2D6	Zaburzenia czynności wątroby	Inhibitory	Dostosowanie dawki
EM	Łagodne (klasa A według klasyfikacji Childa-Pugha)	Wyłącznie eliglustat	Nie jest wymagane dostosowanie dawkowania
	Umiarkowane (klasa B według klasyfikacji Childa-Pugha)	Wyłącznie eliglustat	Nie jest zalecane
	Ciężkie (klasa C według klasyfikacji Childa-Pugha)	Wyłącznie eliglustat Eliglustat + dowolny inhibitor CYP	Przeciwwskazane
	Łagodne (klasa A według klasyfikacji Childa-Pugha) lub umiarkowane (klasa B według klasyfikacji Childa-Pugha)	Eliglustat + silny lub umiarkowany CYP2D6	Przeciwwskazane
	Łagodne (klasa A według klasyfikacji Childa-Pugha)	Eliglustat + słaby inhibitor CYP2D6; lub silny, umiarkowany lub słaby inhibitor CYP3A	Należy rozważyć zastosowanie dawki raz na dobę
IM lub PM	Dowolne	Nie dotyczy	Nie jest zalecane

Pacjenci z zaburzeniami czynności nerek

Rodzaj metabolizmu z udziałem izoenzymu CYP2D6	Zaburzenia czynności nerek	Dostosowanie dawki
EM	Łagodne, umiarkowane lub ciężkie	Nie jest wymagane dostosowanie dawkowania
	Schyłkowa niewydolność nerek (ESRD, ang. <i>end-stage renal disease</i>)	Nie jest zalecane

Rodzaj metabolizmu z udziałem izoenzymu CYP2D6	Zaburzenia czynności nerek	Dostosowanie dawki
IM lub PM	Łagodne, umiarkowane lub ciężkie, lub ESRD	Nie jest zalecane

Dzieci i młodzież (w wieku < 6 lat) o masie ciała < 15 kg Dane dotyczące bezpieczeństwa stosowania oraz skuteczności eliglustatu u dzieci i młodzieży w wieku poniżej 6 lat są ograniczone. Nie ma danych potwierdzających stosowanie eliglustatu u dzieci o masie ciała poniżej 15 kg. Sposób podawania Produkt leczniczy Cerdelga należy przyjmować doustnie. Kapsułki należy połykać w całości, najlepiej popijając wodą; nie należy ich rozgniatć ani rozpuszczać. Kapsułki można przyjmować z posiłkiem lub niezależnie od posiłku. Należy unikać spożywania grejpfrutów lub soku z grejpfrutów. Nie badano mieszania zawartości kapsułki (proszku eliglustatu) z posiłkiem lub piciem. **Przeciwwskazania** Nadwrażliwość na substancję czynną lub na którąkolwiek substancję pomocniczą. Produkt leczniczy Cerdelga jest przeciwwskazany u pacjentów o IM lub EM z udziałem izoenzymu CYP2D6 przyjmujący silny lub umiarkowany inhibitor CYP2D6 jednocześnie z silnym lub umiarkowanym inhibitorem CYP3A oraz u pacjentów o PM z udziałem izoenzymu CYP2D6 przyjmujący silny inhibitor CYP3A. Produkt leczniczy Cerdelga jest przeciwwskazany u pacjentów o EM z udziałem izoenzymu CYP2D6, u których występują ciężkie zaburzenia czynności wątroby, a także u przyjmujących silny lub umiarkowany inhibitor CYP2D6 pacjentów o EM z udziałem izoenzymu CYP2D6, u których występują łagodne lub umiarkowane zaburzenia czynności wątroby. **Specjalne ostrzeżenia i środki ostrożności dotyczące stosowania** Pacjenci z chorobami serca w wywiadzie W trakcie badań klinicznych nie badano stosowania eliglustatu u pacjentów z chorobami serca w wywiadzie. Ponieważ przewiduje się, że eliglustat przy znacznie zwiększonym stężeniu w osoczu powoduje łagodne zwiększenie odstępów w badaniu EKG, należy unikać stosowania eliglustatu u pacjentów z chorobami serca (niewydolność serca, niedawno przebyty ostry zawał mięśnia sercowego, bradykardia, blok serca, komorowe zaburzenie rytmu serca) lub zespołem długiego QT, jak również w skojarzeniu z przeciwyarytmicznymi produktami leczniczymi klasy IA (np. chinidyna) i klasy III (np. amiodaron, sotalol). Pacjenci z zaburzeniami czynności wątroby i stosujący jednocześnie inne produkty lecznicze Jednoczesne stosowanie eliglustatu z inhibitorami CYP2D6 lub CYP3A4 w przypadku pacjentów o EM z udziałem izoenzymu CYP2D6, u których występują łagodne zaburzenia czynności wątroby, może skutkować dalszym podwyższeniem poziomu eliglustatu w osoczu; skala tego zjawiska zależy od hamowanego enzymu oraz od siły inhibitora. W przypadku pacjentów z EM przy udziale izoenzymu CYP2D6, u których występują łagodne zaburzenia czynności wątroby, przyjmujących słaby inhibitor CYP2D6 bądź też silny, umiarkowany lub słaby inhibitor CYP3A, zaleca się podanie dawki raz na dobę (np. jeśli przyjmuje się eliglustat w dawce 84 mg dwa razy na dobę to należy dostosować dawkę do 84 mg eliglustatu raz na dobę). Pacjenci z zaburzeniami czynności nerek Brak jest danych lub istnieją tylko ograniczone dane dotyczące pacjentów o EM, IM lub PM z udziałem izoenzymu CYP2D6, u których występuje ESRD, oraz na temat pacjentów o IM i PM z udziałem izoenzymu CYP2D6, u których występują zaburzenia czynności nerek o nasileniu łagodnym, umiarkowanym lub ciężkim; stosowanie eliglustatu w tej grupie pacjentów nie jest zalecane. Monitorowanie odpowiedzi klinicznej U niektórych pacjentów wcześniej nieleczonych, zaobserwowano poniżej 20% zmniejszenie objętości śledziony (niepełne wyniki) po 9 miesiącach leczenia. U tych pacjentów należy rozważyć monitorowanie dalszej poprawy lub zastosowanie alternatywnego sposobu leczenia. U pacjentów ze stabilną chorobą, u których zmieniono sposób leczenia z enzymatycznej terapii zastępczej na leczenie eliglustatem, należy monitorować postęp choroby (np. po 6 miesiącach z dalszą regularną kontrolą) dla wszystkich domen choroby, celem oceny stabilności choroby. Ponowne zastosowanie enzymatycznej terapii zastępczej lub alternatywnego sposobu leczenia należy rozważyć u poszczególnych pacjentów, u których uzyskano niepełną odpowiedź na leczenie. Laktoza Produkt leczniczy nie powinien być stosowany u pacjentów z rzadko występującą dziedziczną nietolerancją galaktozy, całkowitym niedoborem laktazy lub zespołem złego wchłaniania glukozy-galaktozy. **Działania niepożądane** Podsumowanie profilu bezpieczeństwa. Najczęściej zgłaszanym działaniem niepożądanym po zastosowaniu eliglustatu była niestrawność, zgłaszana u około 6% dorosłych pacjentów uczestniczących w badaniach oraz u 10,5% dzieci i młodzieży (w obu kohortach) uczestniczących w badaniu ELIKIDS. Ogółem, profil bezpieczeństwa eliglustatu obserwowany u dzieci i młodzieży podczas badań klinicznych był zgodny z ustalonym

profilem bezpieczeństwa u dorosłych. Zestawienie działań niepożądanych Działania niepożądane przedstawiono według klasyfikacji układów i narządów oraz częstości występowania ([bardzo często ($\geq 1/10$); często ($\geq 1/100$ do $< 1/10$); niezbyt często ($\geq 1/1\ 000$ do $< 1/100$); rzadko ($\geq 1/10\ 000$ do $< 1/1\ 000$); bardzo rzadko ($< 1/10\ 000$)). Działania niepożądane pochodzące z danych z długoterminowych badań klinicznych, które zgłoszono u co najmniej 4 pacjentów, są przedstawione w tabeli 1. W obrębie każdej grupy o określonej częstości występowania, działania niepożądane wymienione są zgodnie ze zmniejszającym się nasileniem. **Zaburzenia układu nerwowego często:** ból głowy*, zawroty głowy*, dysgeuzja. **Zaburzenia serca często:** kołatanie serca. **Zaburzenia układu oddechowego, klatki piersiowej i śródpiersia często:** podrażnienie gardła, kaszel. **Zaburzenia żołądka i jelit często:** niestrawność, ból w nadbrzuszu*, biegunka*, nudności, zaparcia, ból brzucha*, refluks żołądkowo-przełykowy, wzdęcie brzucha*, zapalenie żołądka, dysfagia, wymioty*, suchość w jamie ustnej, wzdęcia. **Zaburzenia skóry i tkanki podskórnej często:** sucha skóra, pokrzywka*. **Zaburzenia mięśniowo-szkieletowe i tkanki łącznej często:** artralgia, bóle kończyn*, ból pleców*. **Zaburzenia ogólne i stany w miejscu podania często:** zmęczenie. *Częstość występowania działań niepożądanych była taka sama lub wyższa w przypadku stosowania placebo w porównaniu z eliglustatem w badaniu głównym kontrolowanym placebo. Dzieci i młodzież W badaniu obejmującym dzieci i młodzież ELIKIDS w kohorcie 1 (monoterapia eliglustatem) najczęściej występującymi działaniami niepożądanymi były niestrawność (9,8%) oraz suchość skóry (3,6%). W kohorcie 2 (terapia skojarzona eliglustat/imigluceraza) najczęściej występującymi działaniami niepożądanymi były ból głowy, niestrawność, zapalenie żołądka i zmęczenie (każde wystąpiło u 16,7% (1/6) pacjentów). Spośród 57 pacjentów, u 53 (93%, 48/51 w kohorcie 1) wystąpiło co najmniej jedno zdarzenie niepożądane związane z leczeniem (TEAE, ang. treatment-emergent adverse event), bez znaczącej różnicy w odniesieniu do grupy wiekowej, płci lub typu GD. Żaden pacjent nie przerwał trwale leczenia z powodu TEAE. Zgłaszanie podejrzewanych działań niepożądanych: Po dopuszczeniu produktu leczniczego do obrotu istotne jest zgłaszanie podejrzewanych działań niepożądanych. Umożliwia to nieprzerwane monitorowanie stosunku korzyści do ryzyka stosowania produktu leczniczego. Osoby należące do fachowego personelu medycznego powinny zgłaszać wszelkie podejrzewane działania niepożądane za pośrednictwem Departamentu Monitorowania Niepożądanych Działań Produktów Leczniczych Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych, Al. Jerozolimskie 181 C, 02-222 Warszawa, Tel.: + 48 22 49 21 301 Faks: + 48 22 49 21 309, Strona internetowa: <https://smz.ezdrowie.gov.pl>. Działania niepożądane można zgłaszać również podmiotowi odpowiedzialnemu. Opracowano na podstawie Charakterystyki Produktu Leczniczego z datą 04/2026. Rpz – produkt leczniczy wydawany na receptę do zastrzeżonego stosowania. Podmiot odpowiedzialny: Sanofi B.V., Paasheuwelweg 25, 1105 BP Amsterdam, Holandia. Pozwolenie na dopuszczenie do obrotu wydane przez Komisję Wspólnot Europejskich nr: EU/1/14/974/001-003. Informacji w Polsce udziela: Sanofi Sp. z o.o., ul. Marcina Kasprzaka 6, 01-211 Warszawa, tel. (22) 2800000.