

Actualités Thérapeutiques



TOUT

ce que vous avez toujours
voulu savoir sur le


CerdelgaTM
(eliglustat) capsules



(sans jamais oser le demander)


(eliglustat) capsules

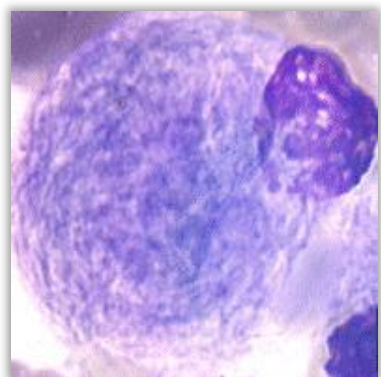


1. Comment ça marche ?
2. Est-ce efficace ?
3. Est-ce adapté pour moi ?
4. Quels sont les effets indésirables ?
5. Les petits plus à savoir


(eliglustat) capsules



1. Comment ça marche ?
2. Est-ce efficace ?
3. Est-ce adapté pour moi ?
4. Quels sont les effets indésirables ?
5. Les petits plus à savoir



déficit en glucocérébrosidase

**Traitement Enzymatique Substitutif
(TES)**


Cerezyme
imiglucerase for injection


VPRIV
velaglucerase alfa
for injection


elelyso
(taliglucerase alfa) for injection

PERFUSION IV

ACCUMULATION

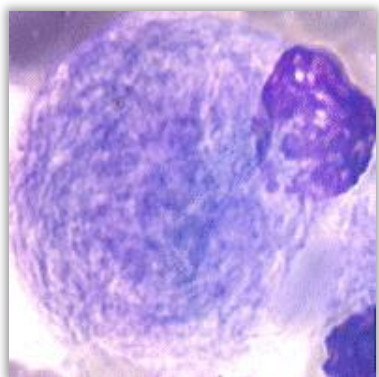
glucosyl céramide¹

céramide

+

glucose

glucosylcéramide synthase



déficit en glucocérébrosidase

ACCUMULATION

glucosyl céramide

glucocérébrosidase résiduelle

céramide

+

glucose


 zavesca[®]
 miglustat

iminosucre


 Cerdelga[™]
 (eliglustat) capsules

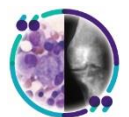
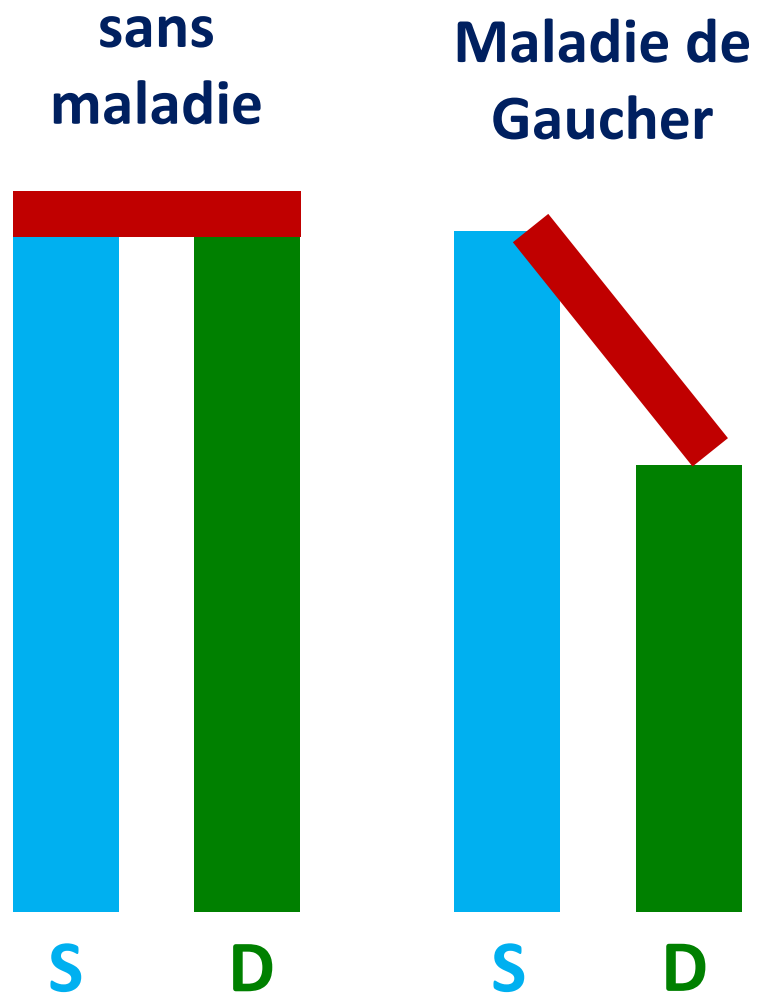
analogue de céramide

glucosylcéramide synthase

blocage de la
 glucosylcéramide synthase

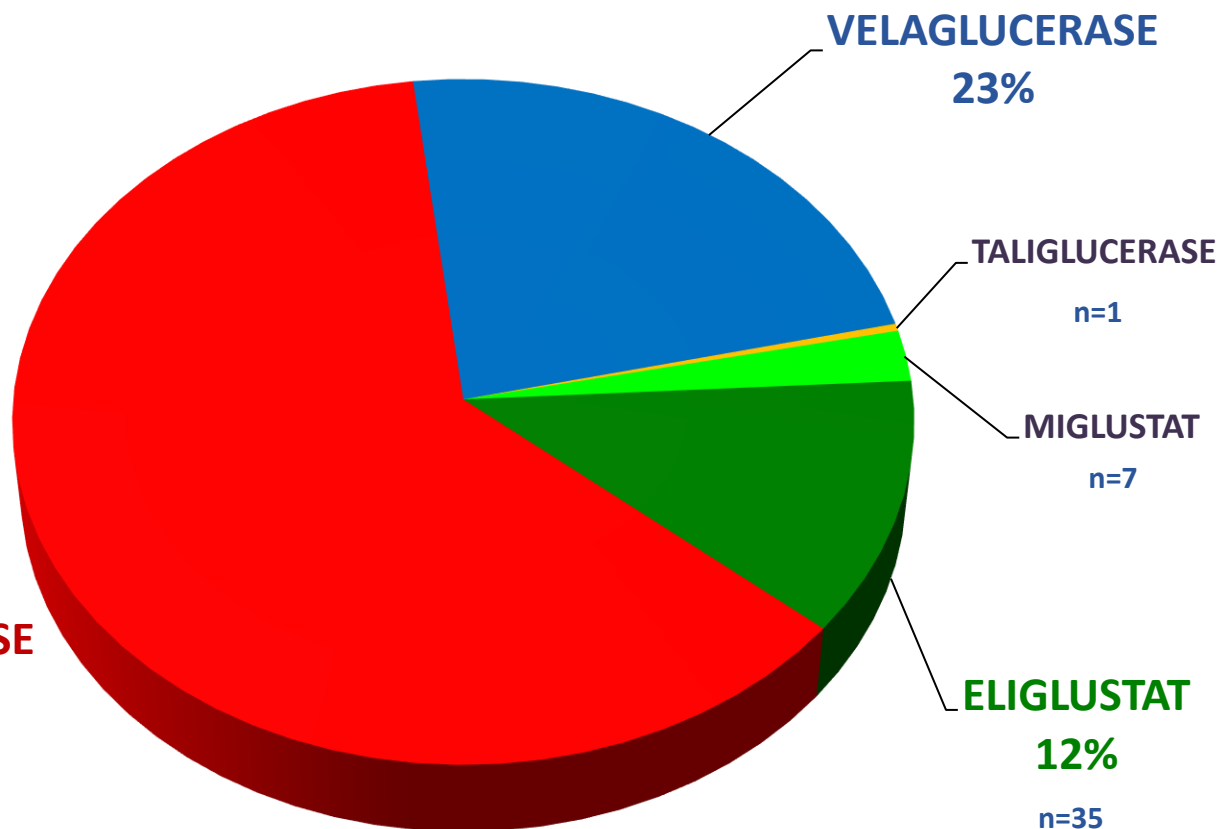
Traitement Inhibiteur de Substrat
 (TIS)

VOIE ORALE




Cerezyme
imiglucerase for injection

IMIGLUCERASE
62%




VPRIV
velaglucerase alfa
for injection


elelyso
(taliglucerase alfa) for injection


zavesca
miglustat


Cerdelga
(eliglustat) capsules

patients **non traités** ≈ **40%** des adultes et **50%** des enfants


Cerdelga™
(eliglustat) capsules



1. Comment ça marche ?
2. Est-ce efficace ?
3. Est-ce adapté pour moi ?
4. Quels sont les effets indésirables ?
5. Les petits plus à savoir

- 1998 : découverte de la molécule dans une université américaine
- 2002 : achat de la molécule par
- 2004 : début des études chez l'homme (phase 1)
- 2006 : 1^{er} malade traité dans une étude **non comparative** (phase 2)
 - les résultats de 26 patients « naïfs » sont très encourageants
- 2009 à 2016 : 3 grands essais cliniques **comparatifs** sont menés (phase 3)
 - ENGAGE : efficacité confirmée par rapport au placebo chez les patients **naïfs**
 - ENCORE : efficacité confirmée par rapport à imiglucérase chez patients **stabilisés** par TES
 - EDGE : comparaison de l'administration d'éliglustat en une ou deux prises par jour : en cours



SANOFI GENZYME

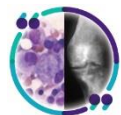
A ce jour, efficacité comparable à l'enzymothérapie dans la cohorte étudiée





1. Comment ça marche ?
2. Est-ce efficace ?
3. Est-ce adapté pour moi ?
4. Quels sont les effets indésirables ?
5. Les petits plus à savoir

- Les éléments de réflexion
 - Plus de 50% des patients n'ont pas besoin de recevoir un traitement spécifique
 - Le traitement par voie orale ne convient pas à tous : éliglustat est éliminé par le foie : dans près de 10% des cas, cette élimination est accélérée ou ralentie : un **test salivaire** préalable est obligatoire (profil « métaboliseur » du cytochrome 2D6)
 - Le traitement par voie orale n'est pas indiqué en cas de **grossesse**



- Les éléments de réflexion
 - Certaines maladies du cœur, du foie ou des reins ne sont pas compatibles avec éliglustat
 - Le traitement par voie orale, c'est une gélule à avaler matin et soir, **tous les jours** alors que le traitement par perfusion s'effectue en une à deux heures **toutes les 2 à 3 semaines**
 - Certains médicaments ne sont pas autorisés avec éliglustat ou nécessitent une adaptation de la dose (**interactions**)

recto du disque

métaboliseur
RAPIDE ou INTERMÉDIAIRE
 =
1 gélule matin et soir

93%

de la population

PRINCIPALES INTERACTIONS MÉDICAMENTEUSES CHEZ LES MÉTABOLISEURS RAPIDES ET INTERMÉDIAIRES DU CYP2D6

(Pour une information complète, se référer au RCP)

Cerdelga® est indiqué pour le traitement à long terme des patients adultes atteints de la maladie de Gaucher de type 1, qui sont métaboliseurs lents, métaboliseurs intermédiaires ou métaboliseurs rapides du cytochrome 2D6 (CYP2D6).

Cerdelga® est contre-indiqué chez les patients qui sont des métaboliseurs intermédiaires ou des métaboliseurs rapides du CYP2D6 prenant de façon concomitante un inhibiteur puissant ou modéré du CYP3A. L'administration concomitante de Cerdelga® avec des inducteurs puissants du CYP3A n'est pas recommandée.

La consommation de pamplemousse ou de jus de pamplemousse doit être évitée.


 gélules
 eliglustat

Précaution

Baisser la dose de Cerdelga à 84 mg/j

Diminuer la dose du traitement concomitant

Non recommandé

Contre-indiqué

[DG*] [Famille] [Interaction] [CAT**]

Antipsychotiques
 Antidépresseurs
 Antirétroviraux
 Antiépileptiques
 Antibiotiques
 Antiarythmiques
 Antihypertenseurs
 Antifongiques
 Autres

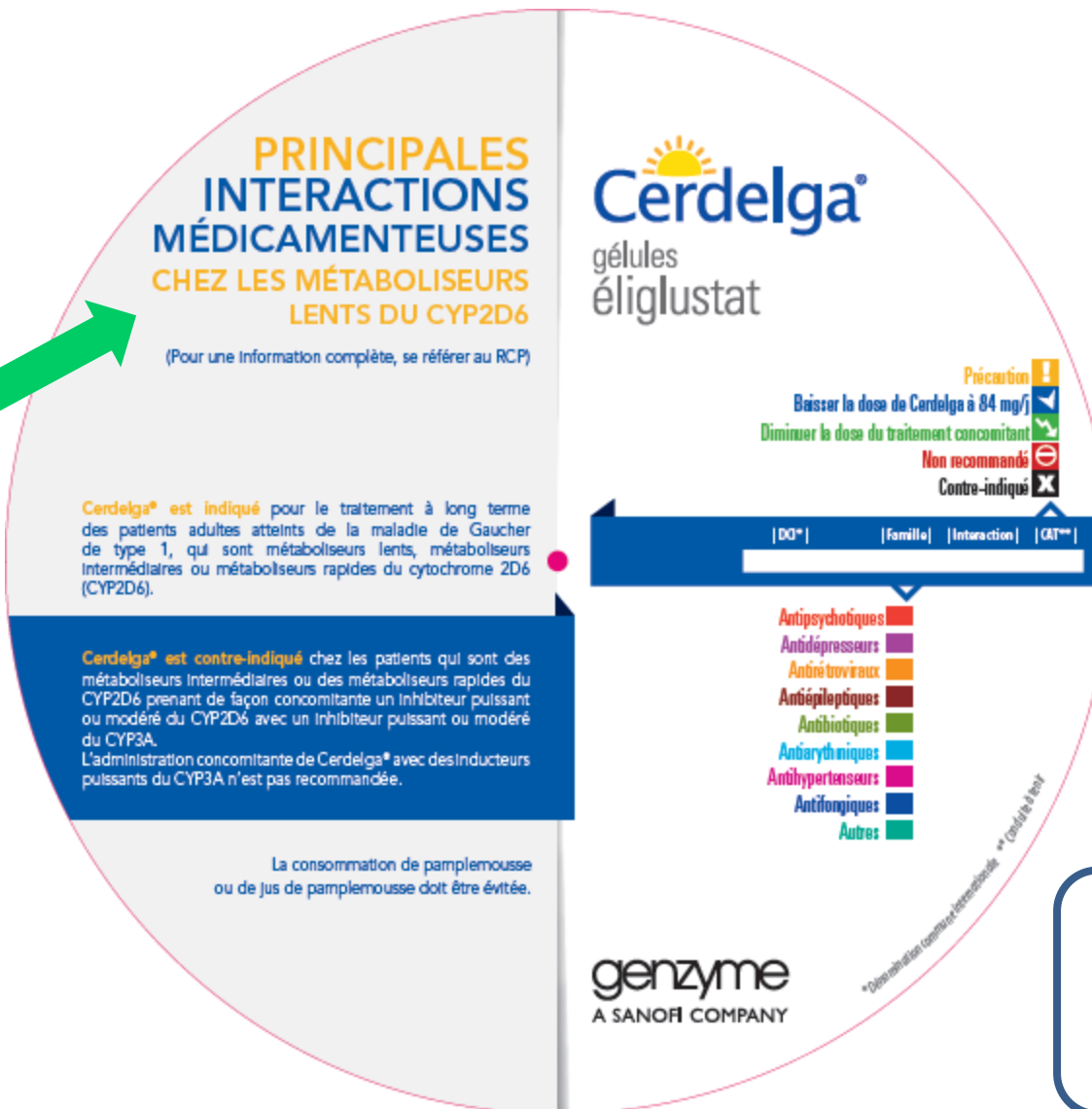
* Dose recommandée pour les métaboliseurs rapides
 ** Catégorie de toxicité

genzyme
 A SANOFI COMPANY

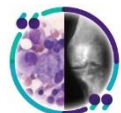
verso du disque

4%

de la population



métaboliseur
LENT
 =
 1 gélule par jour




(eliglustat) capsules



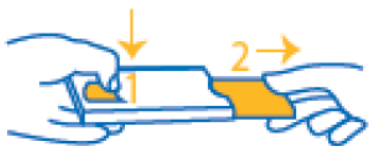
1. Comment ça marche ?
2. Est-ce efficace ?
3. Est-ce adapté pour moi ?
4. Quels sont les effets indésirables ?
5. Les petits plus à savoir

- Ils sont **rares** et le plus souvent **bénins** (recueil auprès des 393 patients traités dans les essais cliniques)
 - aucun effet indésirable grave signalé
 - 3% des patients ont arrêté l'étude du fait d'un EI
 - 30% des patients ont eu au moins un EI **durant les 6 premiers mois**, ils n'était plus que 8% après un an de traitement
 - Les plus fréquents (moins de 10% des patients) : céphalées, étourdissements, troubles digestifs, douleurs articulaires, fatigue



1. Comment ça marche ?
2. Est-ce efficace ?
3. Est-ce adapté pour moi ?
4. Quels sont les effets indésirables ?
5. Les petits plus à savoir

- éliglustat est **pris en charge à 100%** (ALD), la gélule coûte 337€
- la boîte d'éliglustat contient 4 plaquettes de 14 gélules (1 plaquette = 7 jours)



pour ouvrir : tout en appuyant votre pouce et vos doigts ensemble à une extrémité de l'étui, tirez doucement la plaquette pour ouvrir l'étui

- éliglustat n'est disponible qu'à la **pharmacie de l'hôpital** et n'est délivré que **pour 4 semaines**
- en cas d'oubli d'une prise (au-delà de 4 à 6 heures de retard), il est préférable d'attendre la prise suivante pour éviter tout surdosage
- éliglustat peut être pris à jeun mais il semble que la tolérance est meilleure avec la prise d'aliments

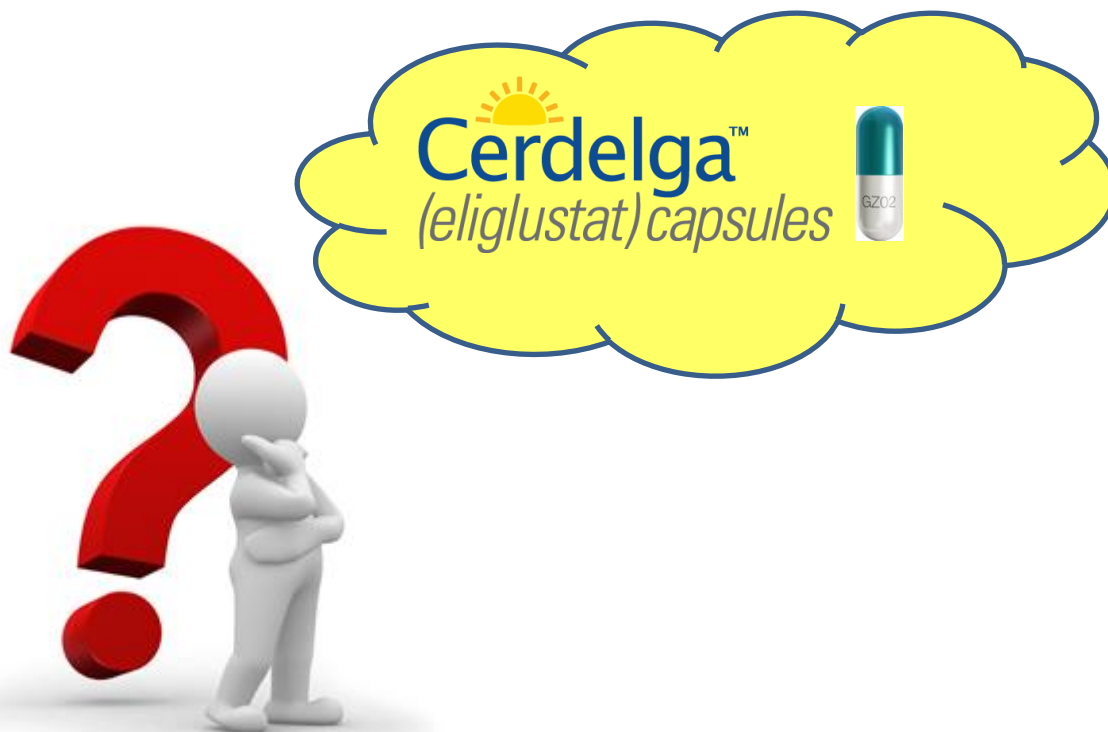
- La consommation de pamplemousse est interdite



- Les patients traités par éliglustat pourront participer à une étude de suivi



- consentement à signer
- recueil anonyme des éléments de suivi habituel: pas de prise de sang ou d'examen supplémentaires
- 4 questionnaires d'auto-évaluation (douleur, fatigue, qualité de vie, satisfaction) après 6 et 12 mois de traitement



merci de votre attention