



CHMP Của Châu Âu Bày Tỏ Quan Điểm Tích Cực Đối Với Thuốc Cerdelga® (eliglustat) Của Công Ty Genzyme

Paris, Ngày 21/11/2014 - [Sanofi](#) và công ty trực thuộc [Genzyme](#) hôm nay vừa công bố Ủy ban Dược phẩm Dùng cho Người (CHMP) thuộc Cơ quan Quản lý Dược phẩm Châu Âu (EMA) đã bày tỏ quan điểm tích cực trong việc khuyến cáo chuẩn thuận thuốc Cerdelga® (eliglustat) dạng viên nang, một phương thức điều trị dạng uống dành cho người lớn mắc bệnh Gaucher týp 1.

Hội đồng châu Âu (EC) dự kiến đưa ra quyết định cuối cùng về việc cấp phép quảng bá cho Cerdelga tại các nước thuộc khối Liên minh Châu Âu trong vài tháng tới. Cerdelga đã được chuẩn thuận bởi Cơ quan Quản lý Thực phẩm và Dược phẩm Hoa Kỳ vào tháng Tám và đang được xem xét bởi các cơ quan có thẩm quyền khác trên toàn thế giới.

“Quan điểm hiện tại của CHMP là bước kế tiếp trong việc đảm bảo thuốc Cerdelga sẵn có để dùng cho người lớn mắc bệnh Gaucher týp 1 sống tại các nước thuộc khối Liên minh Châu Âu”, Bác sĩ David Meeker, Chủ tịch và Giám đốc Điều hành Genzyme cho biết. *“Cerezyme® (imiglucerase dạng tiêm) là liệu pháp điều trị chuẩn cho bệnh Gaucher. Với tính khả dụng của liệu pháp điều trị dạng uống hiệu quả, Cerdelga sẽ cho bệnh nhân và bác sĩ có nhiều lựa chọn hơn trong việc kiểm soát căn bệnh nghiêm trọng này”.*

Quan điểm của CHMP được dựa trên dữ liệu từ nghiên cứu lâm sàng của Cerdelga, nghiên cứu lâm sàng lớn nhất từ trước đến nay được thực hiện trên bệnh nhân mắc bệnh Gaucher, với khoảng 400 bệnh nhân được điều trị tại 29 quốc gia. Công ty Genzyme đã và đang nghiên cứu liệu pháp điều trị dạng uống trên bệnh Gaucher trong 15 năm qua.

Những phản ứng phụ thường gặp nhất ($\geq 10\%$) của CERDELGA là: mệt mỏi, nhức đầu, buồn nôn, tiêu chảy, đau lưng, đau đầu chi và đau thượng vị.

Thông Tin Về Bệnh Gaucher

Bệnh Gaucher là một bệnh di truyền ảnh hưởng đến khoảng <10.000 người trên toàn thế giới. Những người mắc bệnh Gaucher không có đủ enzyme, beta-glucosidase (glucocerebrosidase) loại enzyme chuyển hóa một loại chất béo nào đó. Hậu quả là nhiều tế bào bị lắng đọng chất béo (được gọi là những tế bào Gaucher) tích tụ trong nhiều bộ phận khác nhau của cơ thể, chủ yếu là lách, gan và tủy xương. Sự tích tụ những tế bào Gaucher có thể gây lách và gan to, thiếu máu, xuất huyết và bầm tím nhiều, bệnh của xương và một số dấu hiệu và triệu chứng khác. Phổ bệnh thường gặp nhất của bệnh Gaucher, là týp 1, nhìn chung không ảnh hưởng đến não.

Thông Tin Các Chương Trình Liên Quan Đến Bệnh Gaucher của Công Ty Genzyme

Được thực hiện bởi cam kết dài hạn nhằm đáp ứng các nhu cầu chưa được thỏa đáng của nhóm bệnh nhân Gaucher, Genzyme đã và đang nghiên cứu và phát triển các phương pháp điều trị cho những bệnh nhân sống với căn bệnh Gaucher hơn 20 năm qua. Liệu pháp được chuẩn thuận đầu tiên của công ty là liệu pháp đầu tiên trên thế giới đối với bệnh Gaucher. Vài năm sau đó, Genzyme đã phát triển một liệu pháp thay thế enzyme thế hệ nối tiếp cho bệnh Gaucher, liệu pháp mà hiện tại là điều trị chuẩn với những dữ liệu hiệu quả và an toàn mà không có liệu pháp nào sánh kịp trong nhiều năm qua. Năm 2014, Genzyme là công ty đầu tiên đưa ra thị trường một phương pháp điều trị dạng uống bước 1 cho bệnh Gaucher, cung cấp cho bệnh nhân một lựa chọn điều trị mới. Genzyme sẽ tiếp tục đồng hành cùng cộng đồng bệnh này và duy trì cam kết cho những cải tiến trong tương lai.

Thông Tin Về Cerdelga

Cerdelga (eliglustat), là một chất mới dạng uống có cấu trúc giống glucosylceramide, được dùng để ức chế một phần enzyme glucosylceramide synthase, điều này dẫn đến giảm sản sinh glucosylceramide. Glucosylceramide là chất tích tụ trong những tế bào và mô của những người mắc bệnh Gaucher. Khái niệm khởi đầu được phát thảo bởi cố Tiến sĩ Norman Radin, Đại học Michigan. Trong những nghiên cứu tiền lâm sàng, phân tử, được phát triển bởi Bác sĩ James A. Shayman, cũng đến từ Đại học Michigan, đã cho thấy nét đặc trưng của glucosylceramide synthase. Tiếp theo là chương trình nghiên cứu tiền lâm sàng mở rộng và giai đoạn lâm sàng sớm, Cerdelga đã được nghiên cứu trong nghiên cứu lâm sàng giai đoạn 3 lớn nhất từ trước đến nay trên bệnh Gaucher.