



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/305920/2023
EMA/H/C/000791

Soliris (*eculizumab*)

Общ преглед на Soliris и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Soliris и за какво се използва?

Soliris е лекарство, което се използва за лечение на възрастни и деца с пароксизмална нощна хемоглобинурия (ПНХ) и атипичен хемолитичен уремичен синдром (аХУС).

Това са животозастрашаващи генетични заболявания, причиняващи разграждане на червените кръвни клетки, което води до различни медицински усложнения. ПНХ води до анемия (малък брой на червените кръвни клетки), тромбоза (кръвни съсиреци в кръвоносните съдове), панцитопения (малък брой на кръвните клетки) и тъмна урина, а аХУС — до анемия, тромбоцитопения (намаляване на броя на тромбоцитите, компоненти, които помагат за съсирването на кръвта) и бъбречна недостатъчност.

Soliris се използва за лечение на възрастни и деца на 6 години и повече с миастения гравис (заболяване, при което имунната система атакува и уврежда мускулните клетки, причинявайки мускулна слабост), при които другите лекарства не действат (рефрактерна генерализирана миастения гравис, рефрактерна (ГМГ)) и които имат в организма си специфично анти тяло, наречено AChR анти тяло.

Soliris се използва също за лечение на възрастни със заболяване от спектъра на оптичния невромиелит (ЗСОНМ) — заболяване, при което имунната система уврежда нервните клетки и това причинява проблеми главно с оптичния (очния) нерв и гръбначния мозък (нервна тъкан, която преминава от основата на черепа до централната част на гърба). Използва се при пациенти, които са положителни за анти тяло, наречено AQP4, и чието заболяване е с рецидивиращ ход (пациентът има пристъпи [рецидиви] между периоди без симптоми).

Soliris съдържа активното вещество екулизумаб (*eculizumab*).

Тези заболявания се считат за редки и Soliris е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания). Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на уебсайта на Европейската агенция по лекарствата: ([ПНХ](#): 17 октомври 2003 г.; [аХУС](#): 24 юли 2009 г.; [миастения гравис](#): 29 юли 2014 г.; [ЗСОНМ](#): 24 април 2019 г.).



Как се използва Soliris?

Лекарственият продукт се отпуска само по рецепта и трябва да се прилага под наблюдението на лекар с опит в овладяването на пациенти с бъбречни увреждания и нарушения, засягащи нервната система или кръвта.

Soliris се прилага с инфузия (капково вливане) във вена, като препоръчителната доза зависи от заболяването, за което се използва, а при пациенти на възраст под 18 години — от телесното тегло. Първоначално Soliris се прилага всяка седмица, а след това — на всеки две или три седмици.

Пациентите се наблюдават за нежелани реакции по време на инфузията и най-малко в продължение на един час след това. В случай на свързани с инфузията реакции, лекарят може да забави скоростта или да спре инфузията.

При пациенти, при които се прави плазмообмен (отстраняването, лечението и връщането на собствената им кръвна плазма — течната част на кръвта — в кръвообращението) или вливане на плазма, са необходими допълнителни дози Soliris.

Лечението със Soliris трябва да продължи до живот, освен ако пациентът не развие сериозни нежелани реакции. Лечението трябва да бъде спряно и при пациенти с рефрактерна гМГ, които не се повлияват от лечение със Soliris след 12 седмици.

За повече информация относно употребата на Soliris вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Soliris?

Активното вещество в Soliris, екулизумаб, е моноклонално антитяло (вид белтък), разработен с цел да се свързва с белтъка C5 на комплемента, който е част от защитната система на организма, наречена „система на комплемента“.

При пациентите с ПНХ, аХУС, рефрактерна гМГ и ЗСОНМ, белтъците на комплемента са свръхактивни и увреждат собствените кръвни клетки на пациентите. Като блокира белтъка C5 на комплемента, екулизумаб пречи на белтъците на комплемента да увреждат клетките и по този начин облекчава симптомите на тези заболявания.

Какви ползи от Soliris са установени в проучванията?

ПНХ

За ПНХ Soliris е сравнен с плацебо (сляпо лечение) в едно основно проучване при 87 възрастни с ПНХ, които са били лекувани най-малко с четири кръвопреливания за анемия през последната година. Основната мярка за ефективност е ефектът на Soliris върху кръвните нива на хемоглобина и необходимостта от кръвопреливания. Хемоглобинът е протеин в червените кръвни клетки, който пренася кислород в организма. При пациентите с ПНХ разграждането на червените кръвни клетки води до намаляване на нивата на хемоглобина. Лечението със Soliris в продължение на повече от 26 седмици води до стабилни нива на хемоглобина при 49 % от пациентите (21 от 43), без да има нужда от преливане на червени кръвни клетки. За сравнение при нито един от 44-ата пациенти, получаващи плацебо, не са установени стабилни нива на хемоглобина, а пациентите са имали нужда от средно 10 кръвопреливания.

В проучване при 7 деца с ПНХ, които са били лекувани най-малко с едно кръвопреливане през последните две години, всички пациенти получават Soliris. Шест от седем пациенти не се нуждаят от преливане на червени кръвни клетки, а нивата на хемоглобина се подобряват по време на 12-седмичното лечение със Soliris.

Проучване по регистри на пациенти с ПНХ, на които никога не е правено кръвопреливане, изследва кръвните нива на ензима лактатдехидрогеназа (ЛДХ). Нивата на ЛДХ се повишават при ускоряване на разграждането на червени кръвни клетки. В проучването се установява, че лечението със Soliris в продължение на 6 месеца води до клинично значимо намаление на нивата на ЛДХ, което показва намаляване на разграждането на червени кръвни клетки.

аХУС

За аХУС Soliris е проучен в три основни проучвания при 67 пациенти. Първото проучване обхваща 17 пациенти с аХУС, които не са се повлияли или не е било възможно да бъдат лекувани с плазмообмен или вливане на плазма. Лечението със Soliris увеличава броя на тромбоцитите при 82 % от пациентите, а броят на тромбоцитите нараства до нормалните стойности при 87 % (13 от 15 пациенти), които в началото са имали нисък брой тромбоцити. Освен това при 76 % се постига нормализиране на хематологичните показатели (нива на тромбоцитите и ЛДХ в границите на нормата).

Във второто проучване, обхващащо 20 пациенти с аХУС, които са били лекувани с плазмен обмен или вливане на плазма, 80 % от пациентите нямат нужда от плазмен обмен, вливане на плазма или диализа след лечението със Soliris, а при 90 % от тях се наблюдава нормализиране на хематологичните показатели.

Третото проучване обхваща 30 пациенти с аХУС, които са приемали най-малко една доза Soliris. Лечението води до увеличаване на броя на тромбоцитите до нормалните нива при 83 % от пациентите, като същевременно броят на тромбоцитите се повишава до нормалните нива при 77 % (10 от 13 пациенти), които в началото са имали нисък брой тромбоцити.

Рефрактерна гМГ

Soliris е сравнен с плацебо в едно основно проучване при 126 възрастни с миастения гравис, които са приемали преди това стандартно лечение, но то е било неуспешно. Лечението със Soliris подобрява симптомите на пациентите и способността им да извършват ежедневни дейности въз основа на стандартна система за оценка. Soliris води до намаление с 4,7 точки на оценката, а плацебо — до намаление с 2,8 точки след 26 седмици на лечение. Намаляване с 2 точки в оценката се счита за клинично значимо подобрене в състоянието на пациента.

Подобни резултати са наблюдавани при деца. В едно основно проучване при 11 деца на възраст над 12 години е показано, че Soliris подобрява симптомите и способността на пациентите да извършват ежедневни дейности с 5,2 и 5,8 точки след съответно 12 седмици и 26 седмици на лечение. Въз основа на тези резултати се очаква лекарството да действа по сходен начин и при деца на възраст между 6 и 12 години.

ЗСОНМ

За ЗСОНМ Soliris е сравнен с плацебо в едно основно проучване при 143 възрастни със ЗСОНМ, чието заболяване е рецидивиращо. Основната мярка за ефективност е времето до момента, в който определен брой пациенти получават рецидив. След около средно 22 месеца 3 % от

пациентите, лекувани със Soliris, имат рецидив, докато 43 % от пациентите, лекувани с плацебо, вече са имали рецидив след около средно 9 месеца.

Какви са рисковете, свързани със Soliris?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Soliris вижте листовката.

Най-честата нежелана реакция при Soliris (която може да засегне повече от 1 на 10 души) е главоболие. Най-сериозната нежелана реакция, която може да засегне не повече от 1 на 100 души, е менингококов сепсис (когато бактериите и техните токсини циркулират в кръвта и увреждат органите).

Поради увеличение риск от развитие на менингококов сепсис Soliris не трябва да се прилага при хора, които имат инфекция с *Neisseria meningitidis*. Също така не трябва да се прилага при пациенти, които не са ваксинирани срещу тази бактерия, освен ако те не бъдат ваксинирани и приемат подходящи антибиотици за намаляване на риска от инфекция в продължение на две седмици след ваксинацията.

Защо Soliris е разрешен за употреба в ЕС?

Показано е, че Soliris има полза за пациенти с тези редки заболявания. Профилът на безопасност е подобен за всичките заболявания и се счита за приемлив. Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от Soliris са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Soliris?

Фирмата, която предлага Soliris, ще гарантира, че отпускането на лекарството става само след проверка дали пациентът е получил съответната ваксина срещу *Neisseria meningitidis*. Освен това фирмата ще предостави на предписващите лица и пациентите информация за безопасността на лекарството и ще изпрати напомняне до предписващите лица и фармацевтите, за да проверят дали е необходима допълнителна ваксинация на пациентите, приемащи Soliris. На пациентите ще бъде предоставена също карта с обяснения за симптомите на определени видове инфекции и указания да потърсят незабавно медицинска помощ, ако възникнат такива симптоми.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Soliris, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Soliris непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Soliris, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Soliris:

Soliris получава разрешение за употреба, валидно в ЕС, на 20 юни 2007 г.

Допълнителна информация за Soliris можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Soliris.

Дата на последно актуализиране на текста 07-2023.