



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/309280/2024
EMA/H/C/006061

Piasky (*krovalimab*)

Přehled pro přípravek Piasky a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Piasky a k čemu se používá?

Piasky je léčivý přípravek určený k léčbě dospělých a dětí ve věku od 12 let s tělesnou hmotností 40 kg a vyšší, kteří trpí paroxysmální noční hemoglobinurií.

Paroxysmální noční hemoglobinurie je onemocnění, při kterém nadměrná hemolýza (rozpad červených krvinek) vede k anémii (nízkým hladinám hemoglobinu, což je bílkovina v červených krvinkách, která v těle přenáší kyslík), trombóze (krevním sraženinám v krevních cévách), pancytopenii (nízkým hladinám krvinek) a tmavé moči (kvůli uvolňování velkého množství hemoglobinu do moči).

Přípravek Piasky se používá u pacientů s hemolýzou a příznaky vysoké aktivity onemocnění a u pacientů, jejichž stav byl po dobu nejméně 6 měsíců stabilní při léčbě inhibitory C5 (jiným léčivým přípravkem používaným k léčbě paroxysmální noční hemoglobinurie).

Přípravek Piasky obsahuje léčivou látku krovalimab.

Jak se přípravek Piasky používá?

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit lékař, který má zkušenosti s léčbou pacientů s poruchami souvisejícími s krví.

První dávka přípravku Piasky se podává ve formě infuze (kapání) do žíly. Poté se přípravek podává ve formě injekce pod kůži jednou týdně po dobu prvních 4 týdnů a následně jednou za 4 týdny. Po patřičném zaškolení si pacienti mohou léčivý přípravek injekčně aplikovat doma bez lékařského dohledu.

Přípravek Piasky je určen k dlouhodobému užívání za předpokladu, že se u pacienta nevyskytnou závažné nežádoucí účinky.

Více informací o používání přípravku Piasky naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Jak přípravek Piasky působí?

Léčivá látka v přípravku Piasky, krovalimab, je monoklonální protilátka (druh bílkoviny), která byla vyvinuta tak, aby se navázala na protein komplementu C5, což je součást obranného systému těla zvaného „komplementový systém“.

U pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií jsou bílkoviny komplementu aktivovány v nadměrné míře a poškozují vlastní buňky pacienta. Blokováním komplementu C5 krovalimab zabraňuje bílkovinám komplementu poškozovat buňky, zejména červené krvinky, čímž pomáhá zmírňovat příznaky onemocnění.

Jaké přínosy přípravku Piasky byly prokázány v průběhu studií?

V hlavní studii, do které bylo zařazeno 204 dospělých pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií, kteří dosud nebyli léčeni inhibitorem komplementu, byl přípravek Piasky z hlediska kontroly hemolýzy a snížení potřeby krevních transfuzí stejně účinný jako ekulizumab (jiný léčivý přípravek k léčbě paroxysmální noční hemoglobinurie).

Po 24 týdnech léčby bylo přibližně 79 % pacientů, kterým byl podáván přípravek Piasky, schopno dosáhnout kontroly hemolýzy, na základě měření hladiny enzymu laktátdehydrogenázy v krvi, která odráží míru rozpadu červených krvinek. U pacientů užívajících ekulizumab to bylo také přibližně 79 %. Krevní transfuze ke zvýšení hladiny červených krvinek navíc nebyla nutná u 66 % (88 ze 134) pacientů léčených přípravkem Piasky a u 68 % (47 z 69) pacientů léčených ekulizumabem.

Tyto výsledky byly pozorovány také u malé skupiny 6 dětí s paroxysmální noční hemoglobinurií, kterým byl podáván přípravek Piasky.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Piasky?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Piasky je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou imunokomplexové reakce III. typu (abnormální imunitní reakce, kdy se protilátky naváží na léčivý přípravek a vytvářejí shluky, které se shromažďují v tělesných tkáních, což vyvolává příznaky zahrnující horečku, bolest kloubů, svědění a vyrážku) u pacientů převedených z léčby jiným inhibitorem C5 na přípravek Piasky, infekce horních cest dýchacích (nosu a hrdla), horečka, bolest hlavy a reakce související s infuzí.

Nejzávažnějšími nežádoucími účinky (které mohou postihnout až 1 osobu z 10) jsou imunokomplexové reakce III. typu u pacientů převedených z léčby jiným inhibitorem C5 na přípravek Piasky a pneumonie (plicní infekce).

Mechanismu účinku přípravku Piasky může zvýšit riziko infekcí, včetně meningokokové septe. Přípravek Piasky nesmí být podáván osobám trpícím infekcí způsobenou bakterií *Neisseria meningitidis*. Nesmí být podáván ani pacientům, kteří proti této bakterii nejsou očkovaní, ledaže by očkovaní měli naplánované a až do očkovaní a dva týdny po něm užívali vhodná antibiotika ke zmírnění rizika infekce.

Na základě čeho byl přípravek Piasky registrován v EU?

Lidé s paroxysmální noční hemoglobinurií vyžadují celoživotní léčbu svých příznaků. Přípravek Piasky poskytuje další možnost léčby, která se po prvních 4 týdnech léčby musí užívat pouze jednou za 4 týdny a lze ji podávat injekčně doma. Bylo prokázáno, že přínosy přípravku Piasky jsou srovnatelné s jiným inhibitorem C5, pokud jde o kontrolu hemolýzy a snížení potřeby krevních transfuzí.

Bezpečnostní profil přípravku je vzhledem k zavedeným opatřením k minimalizaci rizik považován za zvladatelný. U pacientů převedených z léčby jiným inhibitorem C5 na přípravek Piasky představují imunokomplexové reakce III. typu očekávané riziko, které je třeba brát v úvahu. Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Piasky převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Piasky?

Společnost, která přípravek Piasky dodává na trh, zajistí, aby k předepisování tohoto přípravku došlo až po ověření, že pacient byl očkován proti bakterii *N. meningitidis*, a zašle předepisujícím lékařům a lékárníkům upozornění, že mají u pacientů užívajících přípravek Piasky zkontrolovat, zda je třeba u nich provést další očkování. Společnost také lékařům a pacientům poskytne edukační materiály o riziku infekcí způsobených meningokokovými bakteriemi, o nutnosti očkování a o riziku závažné hemolýzy po ukončení léčby. Pacienti navíc obdrží kartu, kterou mají mít neustále při sobě, s informacemi o hlavních známkách a příznacích meningokokových infekcí a závažných alergických reakcí a s pokyny, kdy mají vyhledat akutní lékařskou péči.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Piasky, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Piasky průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Piasky jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Piasky

Další informace o přípravku Piasky jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/piasky.