



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Piasky (*crovalimab*)

En oversigt over Piasky, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Piasky, og hvad anvendes det til?

Piasky er et lægemiddel til behandling af voksne og børn over 12 år med en vægt på 40 kg og derover med paroksysatisk nokturn hæmoglobinuri (PNH).

PNH er en sygdom, hvor overdreven hæmolyse (nedbrydningen af røde blodlegemer) resulterer i anæmi (lavt indhold af hæmoglobin, proteinet i røde blodlegemer, der transporterer ilt rundt i kroppen), trombose (blodpropper i blodkarrene), pancytopeni (lavt indhold af blodlegemer) og mørk urin (på grund af, at der frigives store mængder hæmoglobin i urinen).

Piasky anvendes hos patienter med hæmolyse og symptomer på høj sygdomsaktivitet samt hos patienter, der har været stabile ved behandling med en C5-hæmmer (et andet lægemiddel til behandling af PNH) i mindst 6 måneder.

Piasky indeholder det aktive stof crovalimab.

Hvordan anvendes Piasky?

Lægemidlet fås kun på recept, og behandling bør indledes af en læge med erfaring i behandling af patienter med blodrelaterede lidelser.

Den første dosis Piasky gives som en infusion (drop) i en vene. Derefter gives lægemidlet som en injektion under huden én gang om ugen i de første 4 uger og én gang hver fjerde uge derefter. Efter tilstrækkelig oplæring kan patienter injicere lægemidlet derhjemme uden lægeligt tilsyn.

Piasky er beregnet til langvarig brug, medmindre patienten får alvorlige bivirkninger.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Piasky, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Piasky?

Det aktive stof i Piasky, crovalimab, er et monoklonalt antistof (en type protein), der er beregnet til at binde sig til komplementproteinet C5 (som er en del af immunforsvaret, der kaldes "komplementsystemet").



Hos patienter med PNH er komplementproteinerne overaktive og skader patienternes egne celler. Ved at blokere C5 forhindrer crovalimab komplementproteiner i at beskadige celler, navnlig røde blodlegemer, og er derved med til at reducere symptomerne på sygdommen.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Piasky?

I et hovedstudie blandt 204 voksne patienter med PNH, som ikke tidligere var blevet behandlet med en komplementhæmmer, var Piasky lige så effektivt som eculizumab (et andet lægemiddel mod PNH) til at holde hæmolyse nede og mindske behovet for blodtransfusioner.

Efter 24 ugers behandling var ca. 79 % af de patienter, der fik Piasky, i stand til at holde hæmolyse nede, målt ved niveauet af enzymet laktatdehydrogenase (LDH) i blodet, der afspejler nedbrydningen af røde blodlegemer. Hos patienter, der fik eculizumab, var andelen også omkring 79 %. Desuden havde 66 % (88 ud af 134) af de patienter, der fik Piasky, og 68 % (47 ud af 69) af de patienter, der fik eculizumab, ikke brug for en blodtransfusion for at øge antallet af røde blodlegemer.

Disse resultater sås også hos en lille gruppe på 6 børn med PNH, som fik Piasky.

Hvilke risici er der forbundet med Piasky?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Piasky fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) omfatter type III immunkompleksmedierede reaktioner (en unormal immunreaktion, hvor antistoffer binder sig til lægemidlet og danner klynger, der samler sig i kroppens væv og giver symptomer såsom feber, ledsmerter, kløe og udslæt) hos patienter, der skifter til Piasky fra andre C5-hæmmere, øvre luftvejsinfektion (næse- eller halsinfektion), feber, hovedpine og infusionsrelaterede reaktioner.

De alvorligste bivirkninger (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er type III immunkompleksmedierede reaktioner hos patienter, der har skiftet til Piasky fra andre C5-hæmmere, og pneumoni (lungeinfektion).

Afhængigt af, hvordan Piasky virker, kan det øge risikoen for infektioner, herunder meningokokinfektion og sepsis. Piasky må ikke gives til personer, der har en infektion forårsaget af *Neisseria meningitides*. Det må heller ikke gives til patienter, der ikke er blevet vaccineret mod denne bakterie, medmindre de har planlagt vaccinationen og tager passende antibiotika for at mindske infektionsrisikoen indtil vaccinationen og i to uger derefter.

Hvorfor er Piasky godkendt i EU?

Personer med PNH har behov for livslang behandling for deres symptomer. Piasky udgør en yderligere behandlingsmulighed, som efter de første 4 ugers behandling kun skal tages én gang hver 4. uge og kan injiceres af patienten selv derhjemme. Det er påvist, at fordelene ved Piasky kan sammenlignes med fordelene ved en anden C5-hæmmer for så vidt angår kontrol af hæmolyse og reduktion af behovet for blodtransfusioner. Dets sikkerhedsprofil anses for at være håndterbar i betragtning af de foranstaltninger, der er truffet for at minimere risiciene. Hos patienter, der skifter til Piasky fra andre C5-hæmmere, er type III immunkompleksmedierede reaktioner en forventet risiko, som bør tages i betragtning. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Piasky opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Piasky anvendes sikkert og effektivt?

Virksomheden, der markedsfører Piasky, vil sikre, at ordinerings af lægemidlet først finder sted efter at have kontrolleret, at patienten er blevet vaccineret mod *N. meningitides*, og vil sende påmindelser til de ordinerende læger og apotekerne om at kontrollere, om yderligere vaccination af patienter, der tager Piasky, er nødvendig. Virksomheden vil også forsyne læger og patienter med uddannelsesmateriale om risikoen for infektioner forårsaget af meningokokbakterier, behovet for vaccination og risikoen for alvorlig hæmolyse efter behandlingsophør. Desuden vil patienter få et kort, som de altid bør have på sig, med information om de vigtigste tegn og symptomer på meningokokinfektioner og alvorlige allergiske reaktioner samt anvisninger på, hvornår de skal søge akut lægehjælp.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Piasky anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Piasky løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Piasky vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Piasky

Yderligere information om Piasky findes på agenturets websted:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/piasky.