



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Piasky (κροβαλιμάμμη)

Ανασκόπηση του Piasky και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Piasky και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Piasky είναι φάρμακο για τη θεραπεία ενηλίκων και παιδιών ηλικίας άνω των 12 ετών και βάρους 40 kg και άνω, που πάσχουν από παροξυσμική νυκτερινή αιμοσφαιρινουρία (ΠΝΑ).

Η ΠΝΑ είναι μια νόσος κατά την οποία η υπερβολική αιμόλυση (διάσπαση των ερυθρών αιμοσφαιρίων) μπορεί να οδηγήσει σε αναιμία (χαμηλά επίπεδα αιμοσφαιρίνης, της πρωτεΐνης στα ερυθρά αιμοσφαίρια που μεταφέρει το οξυγόνο σε ολόκληρο τον οργανισμό), θρόμβωση (θρόμβοι αίματος στα αιμοφόρα αγγεία), πανκυτταροπενία (χαμηλά επίπεδα αιμοσφαιρίων) και σκούρα ούρα (λόγω των μεγάλων ποσοτήτων αιμοσφαιρίνης που απελευθερώνονται στα ούρα).

Το Piasky χρησιμοποιείται σε ασθενείς με αιμόλυση και συμπτώματα υψηλής ενεργότητας της νόσου, καθώς και σε ασθενείς που έχουν παραμείνει σε σταθερή κατάσταση κατά τη διάρκεια της θεραπείας με αναστολέα C5 (άλλο φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία της ΠΝΑ) για τουλάχιστον 6 μήνες.

Το Piasky περιέχει τη δραστική ουσία κροβαλιμάμμη.

Πώς χρησιμοποιείται το Piasky;

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με εμπειρία στη διαχείριση ασθενών με αιματολογικές διαταραχές.

Η πρώτη δόση του Piasky χορηγείται με έγχυση (ενστάλαξη) σε φλέβα. Στη συνέχεια, το φάρμακο χορηγείται με υποδόρια ένεση (κάτω από το δέρμα) μία φορά την εβδομάδα για τις πρώτες 4 εβδομάδες και στη συνέχεια μία φορά κάθε τέσσερις εβδομάδες. Μετά από κατάλληλη εκπαίδευση, οι ασθενείς μπορούν να κάνουν μόνοι τους την ένεση στο σπίτι χωρίς ιατρική επίβλεψη.

Το Piasky προορίζεται για μακροχρόνια χρήση, εκτός εάν ο ασθενής εμφανίσει σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Piasky, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

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



Πώς δρα το Piasky;

Η δραστική ουσία του Piasky, η κροβαλιμάμπη, είναι μονοκλωνικό αντίσωμα (τύπος πρωτεΐνης) που έχει σχεδιαστεί για να προσκολλάται στην πρωτεΐνη του συμπληρώματος C5 (C5), η οποία αποτελεί μέρος του αμυντικού συστήματος του οργανισμού με την ονομασία «σύστημα του συμπληρώματος».

Στους ασθενείς με ΠΝΑ οι πρωτεΐνες του συμπληρώματος είναι υπερδραστικές με αποτέλεσμα να προκαλείται βλάβη στα κύτταρα των ασθενών. Αναστέλλοντας τη δράση του C5, η κροβαλιμάμπη προλαμβάνει τη βλάβη που προκαλούν οι πρωτεΐνες του συμπληρώματος στα κύτταρα, ιδίως τα ερυθρά αιμοσφαίρια, συμβάλλοντας κατ' αυτόν τον τρόπο στην ανακούφιση από τα συμπτώματα της νόσου.

Ποια είναι τα οφέλη του Piasky σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μια κύρια μελέτη, στην οποία μετείχαν 204 ενήλικες ασθενείς με ΠΝΑ οι οποίοι δεν είχαν προηγουμένως λάβει θεραπεία με αναστολέα συμπληρώματος, το Piasky ήταν εξίσου αποτελεσματικό με την εκουλιζουμάμπη (άλλο φάρμακο για τη θεραπεία της ΠΝΑ) στον έλεγχο της αιμόλυσης και στη μείωση της ανάγκης για μεταγγίσεις αίματος.

Μετά από 24 εβδομάδες θεραπείας, περίπου το 79% των ασθενών που έλαβαν Piasky κατάφεραν να επιτύχουν έλεγχο της αιμόλυσης, όπως αυτός μετράται με βάση τα επίπεδα του ενζύμου γαλακτική αφυδρογονάση (LDH) στο αίμα, το οποίο αντικατοπτρίζει τα επίπεδα διάσπασης των ερυθρών αιμοσφαιρίων. Στους ασθενείς που έλαβαν εκουλιζουμάμπη, το ποσοστό αυτό κυμαινόταν επίσης γύρω στο 79 %. Επιπλέον, το 66% (88 από τους 134) των ασθενών που έλαβαν Piasky και το 68% (47 από τους 69) των ασθενών που έλαβαν εκουλιζουμάμπη δεν χρειάστηκαν μετάγγιση αίματος για την αύξηση των επιπέδων των ερυθρών αιμοσφαιρίων τους.

Τα αποτελέσματα αυτά παρατηρήθηκαν επίσης σε μια μικρή ομάδα 6 παιδιών με ΠΝΑ που έλαβαν Piasky.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Piasky;

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Piasky περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι πιο συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες (ενδέχεται να παρατηρηθούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) σε ασθενείς που μετέβησαν από θεραπεία με άλλον αναστολέα C5 στο Piasky είναι μεσολαβούμενες από το ανοσοποιητικό σύμπλεγμα αντιδράσεις τύπου III (μη φυσιολογική ανοσολογική αντίδραση κατά την οποία τα αντισώματα προσκολλώνται στο φάρμακο και σχηματίζουν συστάδες οι οποίες συσσωρεύονται στους ιστούς του σώματος, προκαλώντας συμπτώματα όπως πυρετό, πόνο στις αρθρώσεις, κνησμό και εξάνθημα), λοίμωξη του ανώτερου αναπνευστικού συστήματος (μύτη και φάρυγγας), πυρετός, πονοκέφαλος και αντιδράσεις που σχετίζονται με την έγχυση.

Οι πιο σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες (ενδέχεται να παρατηρηθούν σε έως και 1 στους 10 ασθενείς) είναι μεσολαβούμενες από το ανοσοποιητικό σύμπλεγμα αντιδράσεις τύπου III σε ασθενείς που μετέβησαν από θεραπεία με άλλον αναστολέα C5 στο Piasky και πνευμονία (λοίμωξη των πνευμόνων).

Δεδομένου του τρόπου λειτουργίας του Piasky, ενδέχεται να αυξηθεί ο κίνδυνος λοιμώξεων, συμπεριλαμβανομένης της μηνιγγιτιδοκοκκικής σηψαιμίας. Το Piasky δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα με λοίμωξη από *Neisseria meningitidis*· επίσης, δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς που δεν έχουν εμβολιαστεί κατά του βακτηρίου αυτού, εκτός εάν έχουν προγραμματίσει τον εμβολιασμό τους και λαμβάνουν κατάλληλα αντιβιοτικά για τη μείωση του κινδύνου λοίμωξης έως ότου εμβολιαστούν και για δύο εβδομάδες μετά τον εμβολιασμό.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Piasky στην ΕΕ;

Τα άτομα με ΠΝΑ χρειάζονται διά βίου θεραπεία για την αντιμετώπιση των συμπτωμάτων τους. Το Piasky παρέχει μια πρόσθετη θεραπευτική επιλογή, δεδομένου ότι μετά τις πρώτες 4 εβδομάδες θεραπείας πρέπει να λαμβάνεται μόνο μία φορά κάθε 4 εβδομάδες, και μπορεί να χορηγείται με αυτοένεση στο σπίτι. Τα οφέλη του Piasky αποδείχθηκαν συγκρίσιμα με τα οφέλη ενός άλλου αναστολέα C5 όσον αφορά τον έλεγχο της αιμόλυσης και τη μείωση της ανάγκης για μεταγγίσεις αίματος. Η εικόνα ασφάλειας του φαρμάκου κρίνεται διαχειρίσιμη λαμβάνοντας υπόψη τα μέτρα που εφαρμόζονται για την ελαχιστοποίηση των κινδύνων. Σε ασθενείς που μεταβαίνουν σε Piasky κατόπιν θεραπείας με άλλους αναστολείς C5, οι αντιδράσεις από ανοσοσυμπλέγματα τύπου III αποτελούν αναμενόμενο κίνδυνο που πρέπει να λαμβάνεται υπόψη. Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Piasky υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Piasky;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Piasky θα διασφαλίσει ότι η συνταγογράφηση του φαρμάκου πραγματοποιείται μόνο αφού ελεγχθεί ότι ο ασθενής έχει εμβολιαστεί κατά του *N. meningitides* και θα αποστέλλει υπενθυμίσεις στους συνταγογράφους και τους φαρμακοποιούς προκειμένου να ελέγχουν εάν απαιτείται περαιτέρω εμβολιασμός για τους ασθενείς που λαμβάνουν Piasky. Η εταιρεία θα παράσχει επίσης στους γιατρούς και τους ασθενείς εκπαιδευτικό υλικό σχετικά με τον κίνδυνο λοιμώξεων που προκαλούνται από βακτήρια μηνιγγιτιδόκοκκου, την ανάγκη εμβολιασμού και τον κίνδυνο σοβαρής αιμόλυσης μετά τη διακοπή της θεραπείας. Επιπλέον, στους ασθενείς θα χορηγείται κάρτα την οποία θα πρέπει να έχουν πάντοτε μαζί τους. Στην κάρτα θα περιλαμβάνονται πληροφορίες σχετικά με τα βασικά σημεία και συμπτώματα των μηνιγγιτιδοκοκκικών λοιμώξεων και σοβαρών αλλεργικών αντιδράσεων, καθώς και οδηγίες σχετικά με το πότε πρέπει να αναζητήσουν επείγουσα ιατρική περίθαλψη.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Piasky.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Piasky τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Piasky θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Piasky

Περισσότερες πληροφορίες για το Piasky διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/piasky.