



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Soliris (*ekulitsumabi*)

Yleistiedot Soliris-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Soliris on ja mihin sitä käytetään?

Soliris on lääke, jolla hoidetaan aikuisten ja lasten kohtauksittaista yöllistä hemoglobiuriaa (PNH) ja epätyypillistä hemolyyttis-ureemista oireyhtymää (aHUS).

Nämä ovat hengenvaarallisia geneettisiä sairauksia, jotka aiheuttavat punaisten verisolujen hajoamista, mikä johtaa erilaisiin lääketieteellisiin komplikaatioihin. PNH aiheuttaa anemiaa (punasolujen niukkuus), tromboosia (verihyytymiä verisuonissa), pansytopeniaa (verisolujen niukkuutta) ja virtsan tummuutta; aHUS puolestaan aiheuttaa anemiaa, trombositopeniaa (veren hyytymiseen vaikuttavien verihiutaleiden määrän vähenemistä) ja munuaisten vajaatoimintaa.

Solirista käytetään myös myasthenia gravista (sairaus, jossa immuunijärjestelmä hyökkää lihassoluja vastaan ja vaurioittaa niitä aiheuttaen lihasheikkoutta) sairastavilla aikuisilla ja vähintään 6-vuotiailla lapsilla, joilla muut lääkkeet eivät tehoa (hoitoon vastaamaton yleistynyt myasthenia gravis eli refraktorinen gMG) ja joilla on elimistössään AChR-nimisiä vasta-aineita.

Solirista käytetään myös hoidettaessa aikuisia, joilla on neuromyelitis optica -sairaus (NMOSD), jossa immuunijärjestelmä vaurioittaa hermosoluja vahingoittaen lähinnä näköhermoa ja selkäydintä (hermokudos, joka alkaa kallonpohjasta ja päättyy selän keskiosaan). Sitä käytetään potilailla, joilla on AQP4-nimistä vasta-ainetta ja joiden sairaus on aaltomaisesti paheneva (potilaalla on taudinkohtauksia oireettomien kausien välissä).

Soliriksen vaikuttava aine on ekulitsumabi.

Nämä sairaudet ovat harvinaisia, ja Soliris nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke). Lisää tietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivustolla: ([PNH](#): 17. lokakuuta 2003; [aHUS](#): 24. heinäkuuta 2009; [myasthenia gravis](#): 29. heinäkuuta 2014; [NMOSD](#): 24. huhtikuuta 2019).

Miten Solirista käytetään?

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja se on annettava munuaissairauksia ja hermoston sairauksia tai verisairauksia sairastavien potilaiden hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

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



Soliris annetaan infuusiona (tippana) laskimoon, ja sen suositeltu annos määräytyy käyttöaiheen ja alle 18-vuotiailla potilailla painon mukaan. Solirista annetaan aluksi viikoittain ja sitten kahden tai kolmen viikon välein.

Potilaita seurataan mahdollisten reaktioiden varalta infuusion aikana sekä vähintään yksi tunti sen jälkeen. Jos infuusioon liittyviä reaktioita esiintyy, lääkäri voi hidastaa infuusiota tai lopettaa sen.

Potilaille, jotka saavat plasmansiirron (potilaan oman veriplasman eli veren nestemäisen osan talteen ottaminen, käsittely ja palauttaminen) tai plasmainfuusion, on annettava lisäannoksia Solirista.

Solirista annetaan läpi elämän, ellei potilaalle tule vakavia haittavaikutuksia. Hoito tulee lopettaa myös potilailla, joilla on hoitoon vastaamaton yleistynyt myasthenia gravis silloin, kun hoito Soliris-valmisteella ei tehoa 12 hoitoviikon jälkeen.

Lisätietoja Soliriksen käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Soliris vaikuttaa?

Soliriksen vaikuttava aine ekulitsumabi on monoklonaalinen vasta-aine (erääntyyppinen proteiini). Se on suunniteltu kiinnittymään C5-komplementtiproteiiniin, joka on kehon komplementtijärjestelmäksi kutsutun puolustusjärjestelmän osa.

PNH-, aHUS-, refraktorinen gMG- ja NMOSD-potilailla komplementtiproteiinit ovat yliaktiivisia ja vaurioittavat potilaan omia verisoluja. Salpaamalla komplementtiproteiini C5:n toiminnan ekulitsumabi estää komplementtiproteiineja vahingoittamasta soluja ja siten auttaa lievittämään näiden sairauksien oireita.

Mitä hyötyä Soliriksestä on havaittu tutkimuksissa?

PNH

PNH:n osalta Solirista verrattiin lumelääkkeeseen yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 87 aikuista PNH-potilasta, joille oli annettu vähintään neljä verensiirtoa anemian vuoksi edellisen vuoden aikana. Tehon päämittoina olivat Soliriksen vaikutus veren hemoglobiinipitoisuuteen ja verensiirtojen tarve. Hemoglobiini on punaisten verisolujen proteiini, joka kuljettaa happea eri puolille kehoa. PNH-potilailla punaisten verisolujen hajoaminen johtaa hemoglobiinipitoisuuden vähenemiseen. 26 viikon Soliris-hoito vakautti hemoglobiiniarvot 49 prosentilla potilaista (21 potilasta 43:sta) ilman, että he tarvitsivat punasolusiirtoja. Kenelläkään 44:stä lumelääkettä saaneesta potilaasta hemoglobiiniarvo ei ollut vakaa, ja he tarvitsivat keskimäärin 10 verensiirtoa.

Seitsemällä PNH-lapsipotilaalla, joille oli annettu vähintään yksi verensiirto edellisten kahden vuoden aikana, tehdyssä tutkimuksessa kaikki potilaat saivat Solirista. Kuusi potilasta seitsemästä ei tarvinnut punasolusiirtoja, ja hemoglobiiniarvot paranivat 12 viikon Soliris-hoidon aikana.

PNH-potilailla, joille ei ollut koskaan tehty verensiirtoa, tehdyssä rekisteritutkimuksessa tarkasteltiin laktaattidehydrogenaasi-entsyymiin (LDH) pitoisuuksia veressä. (LDH-pitoisuus suurenee, kun punasolujen hajoaminen lisääntyy.) Tutkimuksessa havaittiin, että 6 kuukauden Soliris-hoito vähensi LDH-pitoisuuksia kliinisesti merkitsevästi, mikä osoitti punasolujen hajoamisen vähenemistä.

aHUS

aHUS:n osalta Solirista tutkittiin kolmessa päätutkimuksessa, joihin osallistui 67 potilasta. Ensimmäisessä tutkimuksessa oli mukana 17 aHUS-potilasta, joihin plasmansiirto tai infuusio ei

tehonnut tai joita ei voitu hoitaa näillä menetelmillä. Soliris-hoito lisäsi verihiutaleiden määrää 82 prosentilla potilaista, ja 87 prosentilla potilaista (13 potilasta 15:stä), joilla oli alussa alhainen verihiutaleiden määrä, verihiutaleiden määrä nousi normaalille tasolle. Lisäksi 76 prosentilla potilaista todettiin hematologinen normalisoituminen (verihiutaleiden määrä ja LDH-pitoisuus normaalilla tasolla).

Toisessa tutkimuksessa oli mukana 20 aHUS-potilasta, jotka jo saivat plasmansiirtoja tai infuusioita. Heistä 80 prosenttia ei enää tarvinnut plasmansiirtoa, infuusiota tai dialyysia, ja 90 prosenttia potilaista saavutti hematologisen normalisoitumisen Soliris-hoidon jälkeen.

Kolmannessa tutkimuksessa oli mukana 30 vähintään yhden annoksen Solirista saanutta aHUS-potilasta. Hoidolla saatiin verihiutaleiden määrä normaalille tasolle 83 prosentilla potilaista, kun taas 77 prosentilla potilaista (10 potilasta 13:sta), joilla oli alussa alhainen verihiutalemäärä, verihiutaleiden määrä nousi normaalille tasolle.

Refraktorinen gMG

Solirista verrattiin lumelääkkeeseen yhdessä päätutkimuksessa, jossa oli mukana 126 sydänlihaksen heikkoutta sairastavaa potilasta. Potilaat olivat aiemmin saaneet tavanomaista hoitoa, joka ei ollut tehonnut. Soliris-hoito paransi potilaiden oireita ja heidän kykyään suoriutua päivittäisistä toimista standardipisteytysjärjestelmän mukaan. Soliris vähensi pistemäärää 4,7 pistettä, kun taas lumelääke johti 2,8 pisteen vähenemiseen 26 viikon jälkeen. Kahden pisteen aleneminen pisteytyksessä osoittaa potilaan tilan kliinisesti merkitsevää paranemista.

Vastaavia tuloksia saatiin myös lapsilla. Päätutkimuksessa, johon osallistui 11 vähintään 12-vuotiasta lasta, osoitettiin, että Soliris paransi oireita ja potilaiden kykyä suoriutua päivittäisistä toimista 5,2 pisteellä 12 hoitoviikon jälkeen ja 5,8 pisteellä 26 hoitoviikon jälkeen. Näiden tulosten perusteella lääkkeen odotetaan vaikuttavan samalla tavalla myös 6–12-vuotiailla lapsilla.

NMOSD

NMOSD:n osalta Solirista verrattiin lumelääkkeeseen yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 143 aikuista NMOSD-potilasta, joiden sairaus oli aaltomaisesti etenevä. Tehon päämittana oli oli aika, joka kului taudin pahenemiseen tietyllä määrällä potilaita. Keskimäärin noin 22 kuukauden jälkeen 3 prosentilla Soliris-hoitoa saaneista sairaus eteni pahenemisvaiheeseen, kun lumehoitoa saaneista 43 prosentilla sairaus eteni pahenemisvaiheeseen jo keskimäärin noin 9 kuukauden jälkeen.

Mitä riskejä Solirikseen liittyy?

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Soliris-valmisteen haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Soliris-valmisteen yleisin haittavaikutus (joka saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) on päänsärky. Vakavin haittavaikutus, jota saattaa esiintyä yhdellä henkilöllä sadasta, on meningokokin aiheuttama verenmyrkytys (kun bakteereja ja niiden toksineja on veressä ja ne vaurioittavat elimiä).

Solirista ei saa antaa potilaille, joilla on todettu *Neisseria meningitidis* -infektio, sillä lääkkeeseen liittyy kasvanut meningokokin aiheuttaman verenmyrkytyksen riski. Sitä ei myöskään saa antaa potilaille, joita ei ole rokotettu tätä bakteeria vastaan, elleivät potilaat ota asiaankuuluvaa antibioottia infektoriskin vähentämiseksi, kunnes kaksi viikkoa on kulunut rokottamisen jälkeen.

Miksi Soliris on hyväksytty EU:ssa?

Soliris-valmisteesta osoitettiin olevan hyötyä näistä harvinaisista sairauksista kärsiville potilaille. Turvallisuusprofiili oli samanlainen kaikkien kyseisten sairauksien osalta ja sitä pidettiin hyväksyttävänä. Euroopan lääkevirasto katsoi, että Soliris-valmisteen hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Soliriksen turvallinen ja tehokas käyttö?

Solirista markkinoiva yhtiö varmistaa, että lääkettä toimitetaan vain, kun on tarkistettu, että potilas on rokotettu asianmukaisesti *Neisseria meningitidis* -bakteeria vastaan. Yhtiö myös toimittaa lääkettä määrääville lääkäreille ja sitä saaville potilaille tietoa lääkkeen turvallisuusnäkökohdista sekä lähettää lääkettä määrääville lääkäreille ja farmaseuteille muistutuksen, että Solirista saavien potilaiden mahdollisen uudelleen rokottamisen tarve on tarkistettava. Potilaille annetaan kortti, jossa selitetään tiettyjen infektioyhteyksien oireet ja jossa potilaita neuvotaan hakeutumaan välittömästi hoitoon, jos kyseisiä oireita ilmenee.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Soliriksen käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Soliriksen käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Soliriksen ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Soliriksestä

Soliris sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 20. kesäkuuta 2007.

Lisää tietoa Soliriksestä on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Soliris.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 07-2023.