



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Soliris (*ekulizumabas*)

Soliris apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Soliris ir kam jis vartojamas?

Soliris – tai vaistas, kuriuo gydomi suaugusieji ir vaikai, sergantys paroksizmine naktine hemoglobinurija (PNH) ir atipiniu hemoliziniu ureminiu sindromu (aHUS).

Tai yra grėsmę gyvybei keliančios genetinės ligos, kurios sukelia raudonųjų kraujo ląstelių irimą, dėl to pacientams išsivysto įvairios medicininės komplikacijos. Sergant PNH, išsivysto mažakraujystė (sumažėjęs raudonųjų kraujo ląstelių skaičius), trombozė (kraujagyslėse formuojasi krešuliai), pancitopenija (sumažėjęs kraujo ląstelių skaičius) ir patamsėja šlapimas, o sergant aHUS – mažakraujystė, trombocitopenija (sumažėjęs trombocitų – kraujui krešėti padedančių komponentų – skaičius) ir inkstų nepakankamumas.

Soliris gydomi suaugusieji ir vaikai nuo 6 metų, sergantys *myasthenia gravis* (liga, kuria sergant imuninė sistema puola ir pažeidžia raumenų ląsteles, sukeldama raumenų silpnumą), kurių gydymas kitais vaistais neveiksmingas (refrakterinė generalizuota *myasthenia gravis*, refrakterinė gMG) arba kurių organizme yra specifinio antikūno, vadinamo AChR.

Soliris taip pat skiriamas suaugusiesiems, sergantiems optinio neuromielito spektro sutrikimu (NMOSD), liga, kuria sergant imuninė sistema pažeidžia nervų ląsteles, sukeldama daugiausia optinio (akies) nervo ir stuburo smegenų (nuo kaukolės pagrindo nugaros viduriu žemyn besidriekiantis nervinis audinys) pažeidimus. Vaistas skiriamas pacientams, kurių organizme nustatomas antikūnas AQP4 ir kurių liga recidyvuoja (kai pacientams pasireiškia priepuoliai (recidyvo epizodai), po kurių seka besimptomiai periodai).

Soliris sudėtyje yra veikliosios medžiagos ekulizumabo.

Šios ligos laikomos retomis, todėl Soliris buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite Europos vaistų agentūros tinklalapyje ([PNH](#): 2003 m. spalio 17 d.; [aHUS](#): 2009 m. liepos 24 d.; [myasthenia gravis](#): 2014 m. liepos 29 d.; [NMOSD](#): 2019 m. balandžio 24 d.).

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



Kaip vartoti Soliris?

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą ir jis turi būti lašinamas į veną prižiūrint gydytojui, turinčiam pacientų, kurių inkstų veikla sutrikusi arba kurie turi nervų sistemos ar kraujo sutrikimų, gydymo patirties.

Soliris vartojamas infuzijos būdu (lašinamas į veną); rekomenduojama vaisto dozė priklauso nuo ligos, kuri juo gydoma; gydant jaunesnius nei 18 metų pacientus, vaisto dozė priklauso nuo jų kūno svorio. Iš pradžių Soliris lašinamas kartą per savaitę, vėliau – kas dvi ar tris savaites.

Atliekant infuziją ir bent valandą po procedūros stebima, ar pacientams nepasireiškia kokios nors reakcijos. Pasireiškus su infuzija susijusioms reakcijoms, gydytojas gali sulėtinti arba nutraukti infuziją.

Kai kuriems pacientams, kuriems taikoma plazmaferezė (jų kraujo plazma – skystoji kraujo dalis – atskiriama, išvaloma ir vėl grąžinama į kraujotaką) arba atliekama plazmos infuzija, reikia sulašinti papildomas Soliris dozes.

Soliris reikia vartoti visą gyvenimą, nebent pacientui išsivysto sunkus šalutinis poveikis. Gydymą taip pat reikėtų nutraukti, jeigu po 12 gydymo Soliris savaitių refrakterine gMG sergantiems pacientams nepasireiškia atsakas į gydymą.

Daugiau informacijos apie Soliris vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Soliris?

Soliris veikioji medžiaga ekulizumabas yra monokloninis antikūnas (tam tikros rūšies baltymas), sumodeliuotas taip, kad jungtųsi prie komplemento baltymo C5, kuris yra organizmo apsaugos sistemos, vadinamos komplemento sistema, dalis.

PNH, aHUS, refrakterinė gMG ir NMOsD sergančių pacientų organizme komplemento baltymai tampa pernelyg aktyvūs ir pažeidžia paties paciento ląsteles. Slopindamas komplemento baltymą C5, ekulizumabas neleidžia komplemento baltymams pažeisti ląstelių, taip padėdamas malšinti šių ligų simptomus.

Kokia Soliris nauda nustatyta tyrimų metu?

PNH

Siekiant įvertinti šio vaisto poveikį gydant PNH, Soliris buvo lyginamas su placebo (netikru vaistu) atliekant vieną pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 87 PNH sergantys suaugusieji, kuriems per praėjusius vienus metus dėl mažakraujystės kraujas buvo perpiltas bent keturis kartus. Pagrindiniai veiksmingumo rodikliai buvo Soliris poveikis hemoglobino kiekiui kraujyje ir kraujo perpylimų poreikis. Hemoglobinas – tai raudonosiose kraujo ląstelėse esantis baltymas, kuris išnešioja deguonį po visą organizmą. PNH sergančių pacientų organizme skaidant raudonąsias kraujo ląsteles sumažėja hemoglobino kiekis. Po 26 savaičių trukmės gydymo Soliris hemoglobino kiekis stabilizavosi ir raudonųjų kraujo ląstelių perpylimo neprireikė 49 proc. (21 iš 43) pacientų. Nė vienam iš 44 placebo vartojusių pacientų nepavyko stabilizuoti hemoglobino kiekio ir jiems teko atlikti vidutiniškai po 10 perpylimų.

Atliekant tyrimą su 7 PNH sergančiais vaikais, kuriems per praėjusius dvejus metus kraujas buvo perpiltas bent vieną kartą, visi pacientai buvo gydomi Soliris. Per 12 gydymo Soliris savaitių šešiams iš

septynių pacientų neprireikė perpilti raudonųjų kraujo ląstelių, o hemoglobino kiekis jų kraujyje padidėjo.

Atliekant PNH sergančių pacientų, kuriems niekada nebuvo perpiltas kraujas, registro duomenų tyrimą, buvo vertinamas fermento laktato dehidrogenazės (LDH) kiekis kraujyje. Greitėjant raudonųjų kraujo ląstelių skaidymui, LDH kiekis didėja. Atlikus tyrimą, nustatyta, kad per 6 gydymo Soliris mėnesius kliniškai reikšmingai sumažėjo LDH kiekis; tai rodo, kad raudonųjų kraujo ląstelių skaidymas sulėtėjo.

aHUS

Siekiant įvertinti šio vaisto poveikį gydant aHUS, buvo atlikti trys pagrindiniai Soliris tyrimai, kuriuose dalyvavo 67 pacientai. Pirmajame tyrime dalyvavo 17 aHUS sergančių pacientų, kuriems plazmaferezė arba plazmos infuzijos nebuvo veiksmingos arba negalėjo būti taikomos. Taikant gydymą Soliris, trombocitų skaičius padidėjo 82 proc. pacientų; pacientų, kurių kraujyje trombocitų skaičius iš pradžių buvo pernelyg sumažėjęs, grupėje trombocitų skaičius normalizavosi 87 proc. (13 iš 15) pacientų. Be to, 76 proc. pacientų pasiekė hematologinių rodiklių (trombocitų ir LDH koncentracijos) normos ribas.

Atliekant antrąjį tyrimą su 20 aHUS sergančių pacientų, kuriems jau buvo taikoma plazmaferezė arba plazmos infuzijos, 80 proc. pacientų nereikėjo atlikti plazmaferezės, plazmos infuzijų ar dializės ir 90 proc. pacientų, vartodami Soliris, pasiekė hematologinių rodiklių normos ribas.

Trečiasis tyrimas atliktas su 30 aHUS sergančių pacientų, kuriems buvo sulašinta bent viena Soliris dozė. Taikant gydymą, trombocitų skaičius iki normalaus lygio padidėjo 83 proc. pacientų; pacientų, kurių kraujyje trombocitų skaičius iš pradžių buvo pernelyg sumažėjęs, grupėje jis padidėjo 77 proc. (10 iš 13) pacientų.

Refrakterinė gMG

Soliris buvo lyginamas su placebo atliekant vieną pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 126 *myasthenia gravis* sergantys suaugusieji, kuriems anksčiau buvo taikomas standartinis gydymas, bet jis buvo neveiksmingas. Taikant gydymą Soliris, pagal standartinę vertinimo balais sistemą, pacientams pasireiškiantys simptomai palengvėjo ir pagerėjo jų gebėjimas atlikti kasdienes darbus. Vartojant Soliris, po 26 savaičių vertinimas pagal minėtą skalę sumažėjo 4,7 balo, o vartojant placebo – 2,8 balo. Vertinimo sumažėjimas 2 balais rodo kliniškai reikšmingą paciento būklės pagerėjimą.

Tyrimo su vaikais rezultatai buvo panašūs. Atlikus pagrindinį tyrimą su 11 vyresnių nei 12 metų vaikais, nustatyta, kad, vartojant Soliris, po 12 ir 26 gydymo savaičių atitinkamai 5,2 ir 5,8 balo palengvėjo pacientams pasireiškiantys simptomai ir pagerėjo jų gebėjimas atlikti kasdienes darbus. Remiantis šiais rezultatais, manoma, kad vaisto poveikis vaikams nuo 6 iki 12 metų turėtų būti panašus.

NMOSD

Siekiant įvertinti šio vaisto poveikį gydant NMOSD, Soliris buvo lyginamas su placebo atliekant vieną pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 143 suaugusieji, sergantys recidyvuojančios formos NMOSD. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo laikas, per kurį tam tikro skaičiaus pacientų liga recidyvavo. Vidutiniškai po maždaug 22 mėnesių liga recidyvavo 3 proc. Soliris gydomų pacientų, ir vidutiniškai po maždaug 9 mėnesių liga recidyvavo 43 proc. placebo vartojusių pacientų.

Kokia rizika susijusi su Soliris vartojimu?

Išsamų visų Soliris šalutinio poveikio reiškinių ir vartojimo apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Soliris šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra galvos skausmas. Sunkiausias šalutinis poveikis, galintis pasireikšti rečiau kaip 1 žmogui iš 100, yra meningokokinis sepsis (kai bakterijos ir jų toksinai patenka į kraujotaką ir pažeidžia organus).

Dėl padidėjusios meningokokinio sepsio rizikos Soliris negalima gydyti žmonių, kuriems nustatyta *Neisseria meningitidis* infekcija; taip pat šio vaisto negalima vartoti pacientams, kurie nepaskiepyti nuo šios bakterijos, nebent jie būtų paskiepyti ir dvi savaites po paskiepijimo vartotų atitinkamus antibiotikus infekcijos pavojui sumažinti.

Kodėl Soliris buvo registruotas ES?

Įrodyta, kad Soliris veiksmingas šiomis retomis ligomis sergantiems pacientams. Saugumo charakteristikos buvo panašios gydant visas šias ligas ir laikomos priimtinais. Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Soliris nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Soliris vartojimą?

Soliris prekiaujanti bendrovė užtikrins, kad vaistas būtų skiriamas tik įsitikinus, jog pacientas buvo tinkamai paskiepytas nuo *Neisseria meningitidis* infekcijos. Taip pat vaistą išrašantiems gydytojams ir pacientams bendrovė pateiks su vaisto saugumu susijusią informaciją ir nusiųs vaistą išrašantiems gydytojams ir vaistininkams priminimus, kad šie patikrintų, ar Soliris vartojančių pacientų nereikia paskiepyti dar kokia nors vakcina. Pacientams taip pat gaus kortelę, kurioje bus pateikta informacija apie tam tikrų infekcijų simptomus ir nurodyta nedelsiant kreiptis į gydytoją, jeigu tie simptomai pasireikštų.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Soliris vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Soliris vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Soliris šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Soliris

Soliris buvo registruotas visoje ES 2007 m. birželio 20 d.

Daugiau informacijos apie Soliris rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Soliris.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2023-07.