



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Soliris (*eculizumab*)

Prezentare generală a Soliris și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Soliris și pentru ce se utilizează?

Soliris este un medicament care se utilizează în tratamentul hemoglobinuriei paroxistice nocturne (HPN) și al sindromului hemolitic uremic atipic (SHUa) la adulți, adolescenți și copii.

Acestea sunt boli genetice care pun viața în pericol, determinând distrugerea globulelor roșii din sânge, ceea ce cauzează diferite complicații medicale. HPN cauzează anemie (număr mic de globule roșii în sânge), tromboză (cheaguri de sânge în vasele sanguine), pancitopenie (număr mic de celule sanguine) și urină închisă la culoare, iar SHUa cauzează anemie, trombocitopenie (scăderea numărului de trombocite, componente care contribuie la coagularea sângelui) și insuficiență renală.

Soliris se utilizează pentru tratarea adulților și copiilor cu vârsta de 6 ani și peste cu miastenia gravis (boală în care sistemul imunitar atacă și deteriorează celulele musculare, cauzând slăbiciune musculară), la care alte medicamente nu au efect [miastenia gravis generalizată refractară (MGg)] și care au în organism un anticorp specific, numit anticorp AChR.

De asemenea, Soliris se utilizează pentru tratarea adulților cu tulburare din spectrul neuromielitei optice (TSNMO), o boală în care sistemul imunitar deteriorează celulele nervoase, cauzând probleme în principal la nivelul nervului optic (al ochiului) și al măduvei spinării (țesutul nervos care pornește de la baza craniului și coboară spre centrul spatelui). Se utilizează la pacienții care au un anticorp numit AQP4 și la care boala a revenit [când pacientul are atacuri (recurențe) între perioade fără simptome].

Soliris conține substanța activă eculizumab.

Aceste boli sunt rare, iar Soliris a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare). Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe site-ul Agenției Europene pentru Medicamente: ([HPN](#): 17 octombrie 2003; [SHUa](#): 24 iulie 2009; [miastenia gravis](#): 29 iulie 2014; [TSNMO](#): 24 aprilie 2019).

Cum se utilizează Soliris?

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală și trebuie administrat sub supravegherea unui medic cu experiență în tratarea pacienților cu afecțiuni renale și cu tulburări care afectează sistemul nervos sau sângele.

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 se administrează sub formă de perfuzie intravenoasă (picurare în venă), doza recomandată depinde de afecțiunea pentru care se utilizează, iar pentru pacienții cu vârsta sub 18 ani, de greutate. La început, Soliris se administrează săptămânal, iar apoi o dată la două sau trei săptămâni.

Pacienții trebuie monitorizați pentru a li se observa reacțiile în timpul perfuziei și timp de cel puțin o oră după perfuzie. În cazul în care apar reacții legate de perfuzie, medicul poate să încetinească sau să oprească administrarea perfuziei.

La unii pacienții tratați cu schimb de plasmă (înlăturarea, tratarea și reintroducerea propriei plasmă sanguine, partea lichidă a sângelui) sau cu perfuzie cu plasmă sunt necesare doze suplimentare de Soliris.

Soliris trebuie administrat toată viața, cu excepția cazului în care pacientul are reacții adverse grave. De asemenea, tratamentul trebuie oprit la pacienții cu MGg refractară care nu răspund la Soliris după 12 săptămâni.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Soliris, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Soliris?

Substanța activă din Soliris, eculizumabul, este un anticorp monoclonal (un tip de proteină) care a fost conceput să se lege de proteina complementară C5, care face parte din sistemul de apărare al organismului numit „sistem complementar”.

La pacienții cu HPN, SHUa, MGg refractară și TSNMO, proteinele complementare sunt hiperactive și deteriorează celulele proprii ale pacienților. Blocând proteina complementară C5, eculizumabul împiedică proteinele complementare să deterioreze celulele, contribuind astfel la ameliorarea simptomelor acestor boli.

Ce beneficii a prezentat Soliris pe parcursul studiilor?

HPN

Pentru HPN, Soliris a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv) într-un studiu principal care a cuprins 87 de adulți cu HPN care fuseseră tratați pentru anemie cu cel puțin patru transfuzii de sânge în ultimul an. Principalele măsuri ale eficacității au fost efectul Soliris asupra valorilor hemoglobinei în sânge și nevoia de transfuzii. Hemoglobina este proteina din globulele roșii din sânge care transportă oxigenul în organism. La pacienții cu HPN, distrugerea globulelor roșii din sânge duce la scăderea valorilor hemoglobinei. Tratamentul cu Soliris timp de 26 de săptămâni a dus la valori stabile ale hemoglobinei la 49 % din pacienți (21 din 43), fără a fi necesare transfuzii de globule roșii. Prin comparație, niciunul din cei 44 de pacienți cărora li s-a administrat placebo nu a avut valori stabile ale hemoglobinei, având nevoie, în medie, de 10 transfuzii.

Într-un studiu efectuat la 7 copii cu HPN care fuseseră tratați cu cel puțin o transfuzie în ultimii doi ani, tuturor pacienților li s-a administrat Soliris. Șase din cei șapte pacienți nu au avut nevoie de transfuzie de globule roșii, iar valorile hemoglobinei s-au ameliorat pe parcursul a 12 săptămâni de tratament cu Soliris.

Un studiu de registru la pacienți cu HPN care nu făcuseră niciodată o transfuzie de sânge a analizat valorile enzimei lactat dehidrogenază (LDH) din sânge. Valorile LDH cresc odată cu creșterea ratei de distrugere a globulelor roșii din sânge. În urma studiului, s-a constatat că tratamentul cu Soliris timp

de 6 luni a dus la scăderi semnificative din punct de vedere clinic ale valorilor LDH, ceea ce a indicat reducerea ratei de distrugere a globulelor roșii din sânge.

SHUa

Pentru SHUa, Soliris a fost evaluat în trei studii principale care au cuprins 67 de pacienți. Primul studiu a cuprins 17 pacienți cu SHUa care nu răspunseseră la schimbul de plasmă sau la perfuzia cu plasmă sau care nu puteau fi tratați în acest mod. Tratamentul cu Soliris a mărit numărul de trombocite la 82 % din pacienți, iar la 87 % (13 pacienți din 15) din cei care aveau un număr mic de trombocite la începutul tratamentului, numărul de trombocite a crescut până la valori normale. În plus, 76 % au ajuns la „normalizare hematologică” (valorile trombocitelor și ale LDH erau normale).

În al doilea studiu, care a cuprins 20 de pacienți cu SHUa care primeau deja schimb de plasmă sau perfuzie cu plasmă, 80 % din pacienți nu mai necesitau schimb de plasmă, perfuzie sau dializă, iar 90 % din pacienți au ajuns la normalizare hematologică după tratamentul cu Soliris.

Al treilea studiu a cuprins 30 de pacienți cu SHUa cărora li se administrase cel puțin o doză de Soliris. Tratamentul a dus la creșterea numărului de trombocite până la valori normale la 83 % din pacienți, iar la cei care aveau inițial un număr mic de trombocite, acesta a crescut până la valorile normale în 77 % din cazuri (10 pacienți din 13).

MGg refractară

Soliris a fost comparat cu placebo într-un studiu principal care a cuprins 126 de adulți cu miastenia gravis la care tratamentul standard administrat anterior eșuase. Conform unui sistem standard de evaluare, tratamentul cu Soliris a ameliorat simptomele pacienților și capacitatea acestora de a desfășura activități zilnice. Soliris a dus la o reducere de 4,7 puncte pe scală, în timp ce placebo a dus la o reducere de 2,8 puncte după 26 de săptămâni. Reducerea scorului cu 2 puncte indică o ameliorare semnificativă din punct de vedere clinic a stării pacientului.

S-au observat rezultate similare la copii și adolescenți. Un studiu principal efectuat la 11 copii și adolescenți cu vârste peste 12 ani a arătat că Soliris a îmbunătățit simptomele și capacitatea pacienților de a desfășura activități zilnice cu 5,2 puncte după 12 săptămâni de tratament, respectiv cu 5,8 puncte după 26 de săptămâni de tratament. Pe baza acestor rezultate, se așteaptă ca medicamentul să funcționeze în mod similar și la copiii cu vârste cuprinse între 6 și 12 ani.

TSNMO

Pentru TSNMO, Soliris a fost comparat cu placebo într-un studiu principal care a cuprins 143 de adulți cu TSNMO la care boala revenise. Principala măsură a eficacității a fost timpul necesar până la apariția unei recidive la un anumit număr de pacienți. După aproximativ 22 de luni în medie, 3 % din pacienții tratați cu Soliris avuseseră o recidivă, în timp ce 43 % din pacienții tratați cu placebo avuseseră deja o recidivă după aproximativ 9 luni în medie.

Care sunt riscurile asociate cu Soliris?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Soliris, citiți prospectul.

Cea mai frecventă reacție adversă asociată cu Soliris (care poate afecta mai mult de 1 persoană din 10) este durerea de cap. Cea mai gravă reacție adversă, care poate afecta până la 1 persoană din 100, este septicemia meningococică (în cazul în care bacteriile și toxinele lor circulă în sânge și deteriorează organele).

Din cauza riscului mărit de a face o formă gravă de septicemia meningococică, Soliris este contraindicat la persoanele care au o infecție cauzată de *Neisseria meningitides*; de asemenea, este contraindicat la pacienții care nu au fost vaccinați împotriva acestei bacterii, cu excepția cazului în care aceștia fac vaccinul și iau antibiotice corespunzătoare timp de două săptămâni de la vaccinare, pentru a reduce riscul de infecție.

De ce a fost autorizat Soliris în UE?

S-a demonstrat că Soliris aduce beneficii pacienților cu aceste boli rare. Profilul de siguranță a fost similar pentru toate bolile și a fost considerat acceptabil. Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Soliris sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Soliris?

Compania care comercializează Soliris se va asigura că distribuția medicamentului se face numai după ce se verifică dacă pacientul a fost vaccinat corespunzător împotriva *Neisseria meningitides*. De asemenea, compania va pune la dispoziția medicilor prescriptori și a pacienților informații privind siguranța medicamentului și va reaminti medicilor prescriptori și farmaciștilor să verifice dacă pacienții care iau Soliris au nevoie de vaccinare suplimentară. De asemenea, pacienții vor primi un card special în care li se explică simptomele anumitor tipuri de infecții și li se dau instrucțiuni privind necesitatea de a solicita imediat asistență medicală dacă apar simptomele respective.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Soliris, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Soliris sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate pentru Soliris sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Soliris

Soliris a primit autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 20 iunie 2007.

Mai multe informații despre Soliris se pot găsi pe site-ul agenției:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Soliris.

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 07-2022.