



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Soliris (*ekulizumab*)

Sammanfattning av Soliris och varför det är godkänt inom EU

Vad är Soliris och vad används det för?

Soliris är ett läkemedel som används för att behandla vuxna och barn med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) och atypiskt hemolytiskt uremiskt syndrom (aHUS).

Detta är två livshotande genetiska sjukdomar där de röda blodkropparna bryts ned, vilket leder till olika medicinska komplikationer. PNH leder till anemi (lågt antal röda blodkroppar), trombos (blodproppar i blodkärlen), pancytopeni (lågt antal blodkroppar) och mörk urin, medan aHUS leder till anemi, trombocytopeni (minskat antal blodplättar, komponenter som gör att blodet koagulerar) och njursvikt.

Soliris används för att behandla vuxna och barn från 6 års ålder med myastenia gravis (en sjukdom där immunsystemet angriper och skadar muskelceller och orsakar muskelsvaghet) hos vilka andra läkemedel inte fungerar (refraktär generaliserad myastenia gravis, refraktär gMG) och som har en specifik antikropp i kroppen som kallas AChR-antikropp.

Soliris används för att behandla vuxna med neuromyelitis optica spektrumtillstånd (NMOSD), en sjukdom där immunsystemet skadar nervceller, vilket vanligen orsakar problem med synnerven och ryggmärgen (nervvävnad som löper från skallbasen ner till mitten av ryggen). Soliris ges till patienter som har antikroppen AQP4 och vars sjukdom sker skovvis (där patienten får attacker [skov] och däremellan har perioder utan symtom).

Soliris innehåller den aktiva substansen ekulizumab.

Dessa sjukdomar är sällsynta och Soliris klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar). Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns på EMA:s webbplats ([PNH](#): 17 oktober 2003, [aHUS](#): 24 juli 2009, [myastenia gravis](#): 29 juli 2014 [NMSOD](#): 24 april 2019).

Hur används Soliris?

Läkemedlet är receptbelagt och ska ges under överinseende av en läkare som har erfarenhet av att behandla patienter med njursjukdomar och sjukdomar som drabbar nervsystemet eller blodet.

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 ges som en infusion (dropp) i en ven och den rekommenderade dosens storlek beror på vad läkemedlet används mot. För patienter under 18 år beräknas dosen utifrån kroppsvikten. Soliris ges inledningsvis en gång per vecka och därefter varannan eller var tredje vecka.

Patienten ska övervakas avseende eventuella reaktioner under infusionen och minst i en timme därefter. Vid infusionsrelaterade reaktioner kan läkaren sänka infusionshastigheten eller avbryta infusionen.

Vissa patienter som genomgår plasmabyte (avlägsnande, behandling och återföring av deras egen blodplasma, dvs. den del av blodet som består av vätska) eller plasmainfusion måste få ytterligare doser av Soliris.

Soliris bör ges under resten av livet om inte patienten utvecklar allvarliga biverkningar. Behandlingen ska avbrytas hos patienter med refraktär gMG som inte svarar på Soliris efter 12 veckor.

För mer information om hur du använder Soliris, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Soliris?

Den aktiva substansen i Soliris, ekulizumab, är en monoklonal antikropp (ett slags protein) som utformats för att binda till komplementproteinet C5, som är en del av kroppens försvarssystem som kallas "komplementsystemet".

Hos patienter med PNH, aHUS, refraktär gMG och NMOSD är komplementproteinerna överaktiva och skadar patientens egna celler. Genom att blockera komplementproteinet C5 förhindrar ekulizumab att komplementproteinerna skadar cellerna, och lindrar på så sätt symtomen på dessa sjukdomar.

Vilka fördelar med Soliris har visats i studierna?

PNH

Vid PNH jämfördes Soliris med placebo (overksam behandling) i en huvudstudie på 87 vuxna patienter med PNH som hade behandlats med minst fyra blodtransfusioner mot anemi under det föregående året. Huvudeffektåtgärden var Soliris' effekt på hemoglobinnivåerna i blodet och behovet av transfusioner. Hemoglobin är det protein i de röda blodkropparna som transporterar syre i kroppen. Hos patienter med PNH leder nedbrytningen av röda blodkroppar till en minskning av hemoglobinnivåerna. Behandling med Soliris under 26 veckor ledde till att 49 procent av patienterna (21 av 43) fick stabila hemoglobinnivåer och inte behövde några transfusioner av röda blodkroppar. Detta kan jämföras med att ingen av de 44 patienter som fick placebo hade stabila nivåer av hemoglobin och att de i genomsnitt behövde 10 transfusioner.

I en studie på sju barn med PNH som hade behandlats med minst en transfusion under de föregående två åren fick samtliga patienter Soliris. Sex av sju patienter behövde ingen transfusion av röda blodkroppar och hemoglobinnivåerna förbättrades under 12 veckors behandling med Soliris.

En registerstudie av patienter med PNH som aldrig fått en blodtransfusion undersökte nivåerna av enzymet laktatdehydrogenas (LDH) i blodet. LDH-nivåerna stiger i takt med att nedbrytningen av röda blodkroppar ökar. I studien fann man att sex månaders behandling med Soliris ledde till kliniskt meningsfulla sänkningar av LDH-nivåerna, vilket tyder på en minskad nedbrytning av röda blodkroppar.

aHUS

Vid aHUS undersöktes Soliris i tre huvudstudier på 67 patienter. Den första studien omfattade 17 patienter med aHUS som inte svarade på behandling eller inte kunde behandlas med plasmabytning eller plasmaintfusion. Behandling med Soliris ökade trombocytantalet hos 82 procent av patienterna, och trombocytantalet steg till normala värden hos 87 procent (13 av 15 patienter) som hade låga trombocytantal i början. Dessutom uppnådde 76 procent normaliserade blodvärden (normala nivåer av trombocyter och LDH).

Den andra studien, som omfattade 20 patienter med aHUS som redan fick plasmabytning eller plasmaintfusion, ledde till att 80 procent av patienterna inte längre behövde plasmabytning, plasmaintfusion eller dialys och att 90 procent av patienterna uppnådde normaliserade blodvärden med Soliris.

Den tredje studien omfattade 30 patienter med aHUS som hade fått minst en dos Soliris. Behandling ökade trombocytantalet till normala värden hos 83 procent av patienterna, och trombocytantalet steg till normala värden hos 77 procent (10 av 13 patienter) som hade låga trombocytantal i början.

Refraktär gMG

I en huvudstudie som omfattade 126 vuxna med myastenia gravis som inte hade svarat på tidigare standardbehandling jämfördes Soliris med placebo. Behandling med Soliris förbättrade patienternas symtom och deras förmåga att utföra dagliga aktiviteter utifrån ett standardpoängssystem. Efter 26 veckors behandling sågs en sänkning med 4,7 poäng på skalan med Soliris, jämfört med sänkning med 2,8 poäng med placebo. En sänkning med 2 poäng innebär en kliniskt signifikant förbättring av patientens tillstånd.

Liknande resultat konstaterades hos barn. En huvudstudie på 11 barn över 12 års ålder visade att Soliris förbättrade symtomen och patienternas förmåga att utföra dagliga aktiviteter med 5,2 poäng och 5,8 poäng efter 12 veckors respektive 26 veckors behandling. På grundval av dessa resultat förväntas läkemedlet fungera på ett liknande sätt hos barn i åldern 6–12 år.

NMOSD

Vid NMOSD jämfördes Soliris med placebo i en huvudstudie med 143 vuxna som hade skovvis NMOSD. Huvudeffektåtgärden var den tid det tog innan ett visst antal patienter fick ett skov. Efter i genomsnitt cirka 22 månader hade 3 procent av patienterna som behandlades med Soliris haft ett skov, medan 43 procent av patienterna som behandlades med placebo redan haft ett skov efter i genomsnitt cirka 9 månader.

Vilka är riskerna med Soliris?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Soliris finns i bipacksedeln.

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Soliris (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är huvudvärk. Den allvarligaste biverkningen, som kan förekomma hos upp till 1 av 100 användare, är meningokocksepsis (när bakterier och deras toxiner cirkulerar i blodet och skadar organen).

På grund av en ökad risk för att utveckla meningokocksepsis får inte Soliris ges till personer som har en infektion orsakad av *Neisseria meningitidis*. Det får heller inte ges till patienter som inte är vaccinerade mot denna bakterie, om de inte vaccinerar sig och tar lämpliga antibiotika för att minska infektionsrisken under två veckor efter vaccinationen.

Varför är Soliris godkänt i EU?

Soliris har visats vara till nytta för patienter med dessa sällsynta sjukdomar. Säkerhetsprofilen var likvärdig för samtliga sjukdomar och ansågs godtagbar. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Soliris är större än riskerna och att det kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Soliris?

Företaget som marknadsför Soliris ska se till att läkemedlet endast distribueras efter att man har kontrollerat att patienten har fått lämplig vaccination mot *Neisseria meningitides*. Företaget kommer även att förse förskrivande läkare och patienter med information om läkemedlets säkerhet och det kommer att skicka en påminnelse till förskrivande läkare och apotekspersonal om att kontrollera om patienterna som tar Soliris eventuellt behöver ytterligare vaccination. Patienterna ska också få ett kort som förklarar symtomen på vissa typer av infektioner och uppmanar patienterna att omedelbart söka läkarvård om de skulle råka ut för dem.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Soliris har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Soliris kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Soliris utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Soliris

Den 20 juni 2007 beviljades Soliris ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Soliris finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Soliris.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 07-2023.