



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Piasky (*krovalimaab*)

Ülevaade ravimist Piasky ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Piasky ja milleks seda kasutatakse?

Piasky on ravim, millega ravitakse täiskasvanuid ja vähemalt 40 kg kehamassiga üle 12-aastaseid lapsi, kellel on paroksüsmaalne öine hemoglobinuuria.

Paroksüsmaalne öine hemoglobinuuria on haigus, mille korral põhjustab liigne hemolüüs (erütrotsüütide liigne lagunemine) aneemiat (hemoglobiini, organismis hapnikku transportiva erütrotsüütide valgu vähesus), tromboosi (trombe ehk soonesiseseid verehüübeid), pantsütopeeniat (vererakkude vähesust) ja tumedat uriini (suurt hemoglobiinisisaldust uriinis).

Piaskyt kasutatakse hemolüüsi ja haiguse suure aktiivsuse sümptomitega patsientidel ning patsientidel, kelle seisund on stabiliseerunud vähemalt 6-kuud kestnud raviga C5-inhibiitoriga (samuti paroksüsmaalse öise hemoglobinuuria ravim).

Piasky sisaldab toimeainet krovalimaabi.

Kuidas Piaskyt kasutatakse?

Piasky on retseptiravim ja ravi peab alustama verehäiretega patsientide ravis kogenud arst.

Piasky esimene annus manustatakse veeniinfusioonina. Seejärel manustatakse ravimit nahaaluse süstena üks kord nädalas esimese 4 nädala jooksul ja seejärel üks kord iga 4 nädala järel. Pärast asjakohase väljaõppe saamist tohivad patsiendid süstida ravimit kodus ilma meditsiinilise järelevalveta.

Piasky on ette nähtud pikaajaliseks kasutamiseks, v.a juhul, kui patsiendil tekivad rasked kõrvalnähud.

Lisateavet Piasky kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Piasky toimib?

Piasky toimeaine krovalimaab on monoklonaalne antikeha (teatud valk), mis on kavandatud seonduma komplementvalguga C5, mis on osa organismi kaitsesüsteemist, mida nimetatakse komplemendisüsteemiks.

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



Paroksüsmaalse öise hemoglobinuuriaga patsientidel on komplementvalgud üliaktiivsed ja kahjustavad patsiendi enda rakke. C5-valku blokeerides takistab krovalimaab komplementvalke kahjustamast rakke, eelkõige erütrotsüüte, leevendades nii haiguse sümptomeid.

Mis on uuringute põhjal Piasky kasulikkus?

Põhiuuringus, milles osales 204 paroksüsmaalse öise hemoglobinuuriaga täiskasvanut, keda ei olnud varem komplemendi inhibiitoriga ravitud, oli Piasky hemolüüsi ohjamisel ja vereülekannete vajaduse vähendamisel sama efektiivne kui ekulisumaab (samuti paroksüsmaalse öise hemoglobinuuria ravim).

Pärast 24-nädalast ravi õnnestus ligikaudu 79%-l Piaskyt saanud patsientidest hemolüüsi ohjata, mõõdetuna ensüümi laktaatdehüdrogenaasi (LDH) sisaldusena veres, mis näitab erütrotsüütide lagunemist; ka ekulisumaabi patsiendirühmas oli see näitaja 79%. Lisaks ei vajanud 66% Piasky uuringurühma patsientidest (88 patsienti 134st) ja 68% ekulisumaabi saanud patsientidest (47 patsienti 69st) vereülekannet erütrotsüütide sisalduse suurendamiseks.

Neid tulemusi täheldati ka paroksüsmaalse öise hemoglobinuuriaga laste väikeses rühmas (6 last), kes said Piaskyt.

Mis on Piasky riskid?

Piasky kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 inimesel 10st) on näiteks immuunkompleksi vahendatud III tüüpi reaktsioonid (ebanormaalne immuunreaktsioon, mille korral ravimile kinnituvad antikehad ja organismi kudedes moodustuvad klastrid, mis põhjustavad palavikku, liigesevalu, sügelust ja löövet) patsientidel, kes läksid muu C5-inhibiitorilt üle Piaskyle, ülemiste hingamisteede (nina ja kurgu) infektsioonid, palavik, peavalu ja infusioonireaktsioonid.

Kõige raskemad kõrvalnähud (võivad esineda kuni 1 patsiendil 10st) on immuunkompleksi vahendatud III tüüpi reaktsioon patsientidel, kes läksid muu C5-inhibiitorilt üle Piaskyle, ja kopsupõletik.

Sõltuvalt Piasky toimest võib see suurendada infektsioonide, sh meningokokksepsise riski. Piaskyt ei tohi manustada inimestele, kellel on bakteri *Neisseria meningitides* põhjustatud infektsioon; seda ei tohi manustada ka patsientidele, keda ei ole selle bakteri vastu vaktsineeritud, v.a juhul, kui neid on kavas vaktsineerida ja nad võtavad asjakohaseid antibiootikume nakkusohu vähendamiseks kuni vaktsineerimiseni ja kahe nädala jooksul pärast seda.

Miks Piasky ELis heaks kiideti?

Paroksüsmaalse öise hemoglobinuuriaga patsiendid vajavad sümptomite leevendamiseks elukestvat ravi. Piasky pakub täiendavat ravivõimalust; seda võetakse pärast esimest nelja ravinädalat ainult üks kord iga 4 nädala järel ja seda saab kodus ise süstida. Piasky kasulikkus oli hemolüüsi ohjamisel ja vereülekannete vajaduse vähendamisel tõendatult võrreldav muu C5-inhibiitoriga. Ravimi ohutusprofiili peetakse hallatavaks, võttes arvesse riskide vähendamiseks kehtestatud meetmeid. Patsientidel, kes lähevad muudelt C5-inhibiitorilt üle Piaskyle, on immuunkompleksi III tüüpi reaktsioonid eeldatavaks riskiks, mida tuleks arvesse võtta. Euroopa Raviamet otsustas seetõttu, et Piasky kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Piasky ohutu ja efektiivne kasutamine?

Piasky turustaja tagab, et ravim määratakse alles pärast seda, kui on kontrollitud, et patsient on vaktsineeritud bakteri *N. meningitides* vastu, ning ravimit määravatele arstidele ja apteekritele

saadetakse meeldetuletused, et nad kontrolliksid, kas Piaskyt saavaid patsiente on vaja täiendavalt vaksineerida. Samuti annab ettevõtte arstidele ja patsientidele teabematerjali, mis sisaldab teavet meningokokkbakterite põhjustatud infektsioonide riski, vaksineerimise vajaduse ja raske hemolüüsi riski kohta pärast ravi lõpetamist. Lisaks antakse patsientidele kaart, mida nad peavad alati kaasas kandma ja mis sisaldab teavet meningokokkinfektsioonide ja raskete allergiliste reaktsioonide peamiste nähtude ja sümptomite kohta ja juhiseid, millal pöörduda erakorralise meditsiini osakonda.

Piasky ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Piasky kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Piasky oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Piasky kohta

Lisateave Piasky kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/piasky.