



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Piasky (*krovalimabi*)

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

Mitä Piasky on ja mihin sitä käytetään?

Piasky on lääke, jolla hoidetaan aikuisten ja 12-vuotta täyttäneiden vähintään 40 kg painavien lapsien kohtauksittaista yöllistä hemoglobiinivirtsaisuutta (PNH).

PNH on sairaus, jossa liiallinen hemolyysi (verisolujen hajoaminen) johtaa anemiaan (alhainen hemoglobiinipitoisuus; hemoglobiini on veren punasolujen proteiini, joka kuljettaa happea kehon eri osiin), tromboosiin (verihyytymät verisuonissa), pansytopeniaan (alhainen verisolujen määrä) ja virtsan tummuuteen (koska virtsaan vapautuu suuria määriä hemoglobiinia).

Piasky-valmistetta annetaan potilaille, joilla on hemolyysi ja erittäin aktiivisen sairauden oireita, sekä potilaille, joiden sairaus on pysynyt vakaana C5:n estäjällä (toinen PNH:n hoitoon käytettävä lääke) vähintään kuuden kuukauden ajan.

Piaskyn vaikuttava aine on krovalimabi.

Miten Piasky-valmistetta käytetään?

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta verisairauksien sairastavien potilaiden hoitosta.

Ensimmäinen Piasky-annos annetaan infuusiona (tiputuksena) laskimoon. Tämän jälkeen lääkettä annetaan injektiona ihon alle kerran viikossa ensimmäisten neljän viikon ajan ja sen jälkeen neljän viikon välein. Asianmukaisen opastuksen saatuaan potilas voi injektoida lääkkeen itse kotona ilman lääkärin valvontaa.

Piasky-valmiste on tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön, mikäli vakavia haittavaikutuksia ei esiinny.

Lisätietoja Piaskyn käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Piasky vaikuttaa?

Piaskyn vaikuttava aine krovalimabi on monoklonaalinen vasta-aine (eräntyyppinen proteiini). Se kiinnittyy komplementti 5 (C5) -proteiiniin, joka on osa komplementtijärjestelmäksi kutsuttua kehon puolustusjärjestelmää.

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



© European Medicines Agency, 2024. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Kohtauksittaista yöllistä hemoglobinuriaa sairastavien potilaiden komplementtiproteiinit ovat yliaktiivisia ja vaurioittavat potilaan soluja. Salpaamalla C5:n toiminnan krovalimabi estää komplementtiproteiineja vahingoittamasta soluja, erityisesti punasoluja, ja auttaa siten lievittämään sairauden oireita.

Mitä hyötyä Piasky-valmisteesta on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimuksessa Piasky oli yhtä tehokas kuin ekslitsumabi (toinen PNH-lääke) hemolyysin hallinnassa ja verensiirtojen tarpeen vähentämisessä. Tutkimukseen osallistui 204 PNH-potilasta, joita ei ollut aiemmin hoidettu komplementin estäjällä.

Piasky-hoitoa saaneilla potilaista noin 79 prosentilla hemolyysi saatiin hallintaan 24 hoitoviikon jälkeen. Hallintaa arvioitiin mittaamalla veren laktaattidehydrogenaasi-entsyymien (LDH) pitoisuutta, joka kuvastaa punasolujen hajoamista. Ekulitsumabia saaneiden potilaiden vastaava osuus oli noin 79 prosenttia. Lisäksi Piasky-valmistetta saaneista potilaista 66 prosenttia (88 potilasta 134:stä) ja ekulitsumabia saaneista potilaista 68 prosenttia (47 potilasta 69:stä) ei tarvinnut verensiirtoa veren punasolujen määrän lisäämiseen.

Valmisteen tehoa tutkittiin myös pienessä lapsiryhmässä. Tutkimukseen osallistui kuusi PNH:ta sairastavaa lasta, ja heidän hoitotuloksensa olivat samankaltaisia kuin aikuisilla.

Mitä riskejä Piasky-valmisteseen liittyy?

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Piaskyn ilmoitetuista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Yleisimpiä haittavaikutuksia (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat tyypin III immuunikompleksireaktiot (epänormaali immuunivaste, jossa vasta-aineet kiinnittyvät lääkkeeseen ja muodostavat ryppäitä jotka kerääntyvät kehon kudoksiin aiheuttaen oireita, kuten kuumetta, nivelkipua, kutinaa ja ihottumaa) potilailla, jotka ovat siirtyneet toisesta C5-estäjähoidosta hoidosta Piasky-hoitoon, ylähengitysteiden (nenän ja nielun) infektiot, kuume, päänsärky ja infuusioon liittyvät reaktiot.

Vakavimpia haittavaikutuksia (joita saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat tyypin III immuunikompleksireaktiot potilailla, jotka ovat siirtyneet toisesta C5-estäjähoidosta Piasky-hoitoon, sekä keuhkokuume.

Piaskyn vaikutusmekanismin vuoksi sen käyttö saattaa lisätä infektioiden, kuten meningokokkisepsiksen, riskiä. Piasky-valmistetta ei saa antaa henkilöille, joilla on *Neisseria meningitidis* -bakteerin aiheuttama infektio. *Neisseria meningitidis* -infektiota vastaan rokottamattomille potilaille lääkettä saa antaa vain, jos rokote suunnitellaan ottavaksi ja jos potilaat käyttävät infektioriskin vähentämiseksi asianmukaisia antibiootteja ennen rokotusta ja kahden viikon ajan rokotuksen jälkeen.

Miksi Piasky on hyväksytty EU:ssa?

PNH:ta sairastavat potilaat tarvitsevat oireidensa hoitoon elinikäistä hoitoa. Piasky on lisähoitovaihtoehto. Neljän ensimmäisen hoitoviikon jälkeen Piaskya otetaan vain neljän viikon välein ja sitä voidaan pistää itse kotona. Piaskyn hyödyt osoitettiin olevan verrattavissa toiseen C5-estäjään hemolyysin hallinnassa ja verensiirtojen tarpeen vähentämisessä. Sen turvallisuusprofiilin katsotaan olevan hallittavissa käytössä olevilla riskien minimoimistoimilla. Potilailla, jotka siirtyvät Piaskyyn toisesta C5-estäjähoidosta, tyypin III immuunikompleksireaktiot ovat odotettavissa oleva riski, joka on otettava huomioon. Euroopan lääkevirasto katsoi näin ollen, että Piaskyn hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Piaskyn turvallinen ja tehokas käyttö?

Piaskya markkinoiva yhtiö varmistaa, että lääkettä voidaan määrätä vasta sen varmistamisen jälkeen, että potilas on saanut rokotteen *Neisseria meningitidis* -infektiota vastaan. Yhtiö lähettää muistutuksen lääkettä määrääville lääkäreille ja apteekkihenkilökunnalle tarkistaa, tarvitsevatko Piasky-läkettä käyttävät potilaat lisärokotuksia. Lisäksi yhtiö toimittaa lääkäreille ja potilaille perehdytysmateriaalia meningokokkibakteerien aiheuttamien infektioiden riskistä, rokotteen tarpeesta ja vakavan hemolyysin riskistä hoidon lopettamisen jälkeen. Lisäksi potilaille annetaan kortti, joka on aina pidettävä mukana. Kortissa on tietoa meningokokki-infektioiden ja vakavien allergisten reaktioiden keskeisistä merkeistä ja oireista sekä ohjeet siitä, milloin on hakeuduttava ensihoitoon.

Suosituksset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Piaskyn käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen.

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

Muuta tietoa Piasky-valmisteesta

Lisätietoja Piasky-valmisteesta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/piasky.