



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Piasky (*crovalimab*)

Aperçu de Piasky et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Piasky et dans quel cas est-il utilisé?

Piasky est un médicament destiné au traitement des adultes et des enfants de plus de 12 ans, pesant 40 kg ou plus, atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN).

L'HPN est une maladie caractérisée par une hémolyse (dégradation des globules rouges) qui engendre une anémie (faibles taux d'hémoglobine, la protéine présente dans les globules rouges qui transporte l'oxygène dans le corps), des thromboses (caillots dans les vaisseaux sanguins), une pancytopénie (faibles taux de cellules sanguines) et des urines foncées (en raison des grandes quantités d'hémoglobine libérées dans les urines).

Piasky est utilisé chez les patients présentant une hémolyse et des symptômes d'activité élevée de la maladie, ainsi que chez les patients traités par un inhibiteur de la fraction C5 du complément (un autre médicament utilisé pour traiter l'HPN) et stabilisés depuis au moins six mois.

Piasky contient la substance active crovalimab.

Comment Piasky est-il utilisé?

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré par un médecin expérimenté dans la prise en charge des patients souffrant de troubles sanguins.

La première dose de Piasky est administrée sous forme de perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine. Ensuite, le médicament est administré sous la forme d'injection sous la peau une fois par semaine pendant les quatre premières semaines, puis une fois toutes les quatre semaines. Après avoir reçu la formation adéquate, les patients peuvent s'injecter le médicament à domicile sans surveillance médicale.

Piasky est destiné à un usage à long terme, à moins que le patient ne développe des effets indésirables graves.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Piasky, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.



Comment Piasky agit-il?

La substance active de Piasky, le crovalimab, est un anticorps monoclonal (un type de protéine) conçu pour se lier à la protéine du complément C5, qui fait partie du système de défense de l'organisme appelé «système du complément».

Chez les patients atteints d'HPN, les protéines du complément sont hyperactives et endommagent les cellules des patients. En bloquant la protéine C5, le crovalimab empêche les protéines du complément d'endommager les cellules, en particulier les globules rouges, contribuant ainsi à soulager les symptômes de la maladie.

Quels sont les bénéfices de Piasky démontrés au cours des études?

Dans une étude principale portant sur 204 patients adultes atteints d'HPN qui n'avaient pas été précédemment traités à l'aide d'un inhibiteur du complément, Piasky s'est avéré aussi efficace que l'éculizumab (un autre médicament destiné à traiter l'HPN) pour contrôler l'hémolyse et réduire la nécessité de transfusions sanguines.

Après 24 semaines de traitement, l'hémolyse était sous contrôle chez environ 79 % des patients ayant reçu Piasky, d'après le taux sanguin de l'enzyme lactate déshydrogénase (LDH), qui reflète la dégradation des globules rouges; chez les patients ayant reçu de l'éculizumab, ce taux affichait également environ 79 %. En outre, 66 % (88 sur 134) des patients sous Piasky et 68 % (47 sur 69) des patients sous éculizumab n'ont pas eu besoin de transfusion sanguine pour augmenter leurs taux de globules rouges.

Ces résultats ont également été observés au sein d'un petit groupe de six enfants atteints d'HPN ayant reçu Piasky.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Piasky?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Piasky, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont notamment les suivants: réactions à complexes immuns de type III (une réaction immunitaire anormale au cours de laquelle des anticorps se fixent au médicament et forment des amas qui s'accumulent dans les tissus corporels, provoquant des symptômes tels que fièvre, douleurs articulaires, démangeaisons et éruptions cutanées) chez les patients passés d'un traitement par un autre inhibiteur de C5 à Piasky, infection des voies respiratoires supérieures (nez et gorge), fièvre, maux de tête et réactions liées à la perfusion.

Les effets indésirables les plus graves (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) comprennent la réaction à complexes immuns de type III chez les patients passés d'un traitement par un autre inhibiteur de C5 à Piasky et la pneumonie (infection pulmonaire).

Selon son fonctionnement, Piasky peut accroître le risque d'infections, y compris de septicémie à méningocoque. Piasky ne doit pas être administré aux personnes souffrant d'une infection due à *Neisseria meningitidis*; il ne doit pas non plus être administré aux patients n'ayant pas été vaccinés contre cette bactérie, à moins qu'ils n'aient planifié la vaccination et pris les antibiotiques adéquats pour réduire le risque d'infection jusqu'à la vaccination et pendant les deux semaines suivantes.

Pourquoi Piasky est-il autorisé dans l'UE?

Les personnes atteintes d'HPN nécessitent un traitement des symptômes tout au long de la vie. Piasky constitue une option de traitement supplémentaire qui, après les quatre premières semaines de traitement, ne doit plus être prise qu'une fois toutes les quatre semaines et peut être auto-injectée à domicile. Il a été démontré que les bénéfices de Piasky sont comparables à ceux d'un autre inhibiteur de C5 en termes de contrôle de l'hémolyse et de réduction de la nécessité de transfusions sanguines. Son profil de sécurité est considéré comme gérable compte tenu des mesures mises en place pour minimiser les risques. Chez les patients qui passent à Piasky après avoir été traités par d'autres inhibiteurs de C5, les réactions à complexes immuns de type III constituent un risque attendu qui doit être pris en considération. Dès lors, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Piasky sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Piasky?

La société qui commercialise Piasky veillera à ce que la prescription du médicament n'ait lieu qu'après s'être assuré que le patient a été vacciné contre *N. meningitides* et enverra des rappels aux prescripteurs et aux pharmaciens afin de vérifier si une vaccination supplémentaire est nécessaire pour les patients sous Piasky. La société fournira également aux médecins et aux patients du matériel pédagogique mettant en évidence le risque d'infections causées par les bactéries méningococciques, la nécessité de la vaccination et le risque d'hémolyse grave après l'arrêt du traitement. En outre, les patients recevront une carte qu'ils doivent toujours porter avec eux, contenant des informations sur les principaux signes et symptômes des infections à méningocoques et des réactions allergiques graves, ainsi que des instructions relatives aux situations qui nécessitent des soins médicaux d'urgence.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Piasky ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Piasky sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Piasky sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Piasky:

De plus amples informations sur Piasky sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/piasky.