

Soliris (*ekulizumab*)

Pregled informacija o lijeku Soliris i zašto je odobren u EU-u

Što je Soliris i za što se koristi?

Soliris je lijek za liječenje odraslih i djece s paroksizmalnom noćnom hemoglobinurijom (PNH) i atipičnim hemolitičko-uremijskim sindromom (aHUS).

To su po život opasne genetske bolesti koje uzrokuju razgradnju crvenih krvnih stanica, što rezultira različitim zdravstvenim komplikacijama. PNH rezultira anemijom (malim brojem crvenih krvnih stanica), trombozom (krvnim ugrušcima u krvnim žilama), pancitopenijom (malim brojem krvnih stanica) i tamnim urinom, dok aHUS rezultira anemijom, trombocitopenijom (smanjenim brojem trombocita, komponenti koje pomažu pri zgrušavanju krvi) i zatajenjem bubrega.

Lijek Soliris primjenjuje se za liječenje mijastenije gravis (bolesti pri kojoj imunosni sustav napada i oštećuje stanice mišića te uzrokuje slabost mišića) u odraslih osoba i djece u dobi od šest godine i starije, koji ne reagiraju na druge lijekove (refraktorna generalizirana mijastenija gravis, refraktorna gMG) te koji imaju specifična protutijela naziva protutijela na acetilkolinske receptore (AChR).

Soliris se također primjenjuje za liječenje odraslih s poremećajem iz spektra optičkog neuromijelitisa (NMO), bolesti pri kojoj imunosni sustav oštećuje stanice živaca, uzrokujući probleme uglavnom u očnom živcu i leđnoj moždini (živčano tkivo rapoređeno od baze lubanje do središnjeg dijela leđa). Primjenjuje se u bolesnika s protutijelom naziva AQP4 čija se bolest vratila (kad bolesnik iskusi napadaje [relapse] između razdoblja bez simptoma bolesti).

Lijek Soliris sadrži djelatnu tvar ekulizumab.

Te su bolesti rijetke, a Soliris je dobio status „lijeka za rijetku bolest“. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na mrežnom mjestu EMA-e: (PNH: 17. listopada 2003.; aHUS: 24. srpnja 2009.; mijastenija gravis: 29. srpnja 2014.; NMO: 24. travnja 2019.).

Kako se Soliris koristi?

Lijek se izdaje samo na liječnički recept te se mora primjenjivati pod nadzorom liječnika s iskustvom u liječenju bolesnika s bubrežnim poremećajima i poremećajima živčanog sustava ili krvi.

Lijek Soliris primjenjuje se infuzijom (ukapavanjem) u venu, a preporučena doza ovisi o namjeni lijeka te o tjelesnoj težini u bolesnika mlađih od 18 godina. U početku se Soliris daje jednom tjedno, a zatim jednom svaka dva ili tri tjedna.

Tijekom infuzije i najmanje jedan sat nakon nje bolesnici su pod nadzorom radi utvrđivanja mogućih reakcija. U slučaju bilo kakvih reakcija na infuziju, liječnik je može usporiti ili prekinuti.

Dodatne doze lijeka Soliris potrebne su u nekih bolesnika koji primaju zamjenu plazme (uklanjanje, liječenje i vraćanje vlastite krvne plazme, tekućeg dijela krvi) ili infuziju plazme.



Soliris se mora davati doživotno, osim ako bolesnik razvije ozbiljne nuspojave. Liječenje također treba prekinuti u bolesnika s refraktornim gMG-om koji ne reagiraju na lijek Soliris nakon 12 tjedana.

Za više informacija o primjeni lijeka Soliris pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Soliris?

Djelatna tvar lijeka Soliris, ekulizumab, monoklonsko je protutijelo (vrsta bjelančevine) osmišljeno za vezivanje na komplementarnu bjelančevinu C5, koja je dio obrambenog sustava organizma naziva „sustav komplementa“.

U bolesnika oboljelih od PNH-a, aHUS-a, refraktornog gMG-a i NMOSD-a komplementarne bjelančevine prekomjerno su aktivne te oštećuju krvne stanice bolesnika. Inhibirajući komplementarnu bjelančevinu C5, ekulizumab je sprječava da oštećuje stanice, čime se ublažavaju simptomi tih bolesti.

Koje su koristi od lijeka Soliris utvrđene u ispitivanjima?

PNH

Za liječenje PNH-a, lijek Soliris uspoređen je s placebom (prividnim liječenjem) u jednom glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 87 odraslih osoba oboljelih od PNH-a koje su u prethodnoj godini primile barem četiri transfuzije krvi zbog anemije. Glavno mjerilo učinkovitosti bio je učinak lijeka Soliris na razine hemoglobina u krvi i na potrebu za transfuzijama. Hemoglobin je bjelančevina u crvenim krvnim stanicama koja prenosi kisik kroz tijelo. U bolesnika s PNH-om razgradnja crvenih krvnih stanica uzrokuje smanjenu razinu hemoglobina. Liječenje lijekom Soliris tijekom 26 tjedana dovelo je do stabilnih razina hemoglobina u 49 % bolesnika (21 od 43), bez potrebe za transfuzijama crvenih krvnih stanica. U usporedbi s time, nijedan od 44 bolesnika koji su primali placebo nije imao stabilne razine hemoglobina te su u prosjeku trebali deset transfuzija.

U ispitivanju provedenom na sedmero djece oboljele od PNH-a koja su u prethodne dvije godine primila barem jednu transfuziju, svi bolesnici primili su lijek Soliris. Šest od sedam bolesnika nije trebalo transfuziju crvenih krvnih stanica te je došlo do poboljšanja razina hemoglobina tijekom 12 tjedana liječenja lijekom Soliris.

U ispitivanju koje se temelji na podacima iz registra bolesnika oboljelih od PNH-a koji nikad nisu primili transfuziju krvi analizirane su razine enzima laktat dehidrogenaze (LDH). Razine LDH-a rastu s povećanom razgradnjom crvenih krvnih stanica. Ispitivanje je pokazalo da je terapija lijekom Soliris tijekom šest mjeseci dovela do klinički značajnog smanjenja razina LDH-a, što upućuje na smanjenje razgradnje crvenih krvnih stanica.

aHUS

Liječenje aHUS-a lijekom Soliris ispitivano je u trima glavnim ispitivanjima koja su obuhvatila 67 bolesnika. Prvo je ispitivanje obuhvatilo 17 bolesnika oboljelih od aHUS-a koji nisu reagirali na terapiju zamjenom plazme ili infuzijom, odnosno za koje ta terapija nije bila prikladna. Terapija lijekom Soliris dovela je do povećanja broja trombocita u 82 % bolesnika te do normalnih razina trombocita u 87 % bolesnika (13 od 15 bolesnika) koji su na početku terapije imali niski broj trombocita. Osim toga, 76 % bolesnika postiglo je hematološku normalizaciju (razine trombocita i LDH-a u granicama normalnih vrijednosti).

U drugom ispitivanju na 20 bolesnika s aHUS-om koji su već primali zamjenu plazme ili infuziju, 80 % bolesnika više nije trebalo zamjenu plazme, infuziju ni dijalizu, a u 90 % bolesnika postignuta je uravnotežena krvna slika nakon terapije lijekom Soliris.

Treće je ispitivanje obuhvatilo 30 bolesnika oboljelih od aHUS-a koji su primili najmanje jednu dozu lijeka Soliris. Liječenje je dovelo do povećanja broja trombocita na normalne razine u 83 % bolesnika, dok je u bolesnika s početnim malim brojem trombocita dovelo do normalnih razina trombocita u 77 % bolesnika (10 od 13 bolesnika).

refraktorni gMG

Lijek Soliris uspoređen je s placebom u jednom glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 126 odraslih osoba oboljelih od mijastenije gravis kod kojih prethodna standardna terapija nije bila uspješna. Terapija lijekom Soliris ublažila je simptome bolesnika i njihovu sposobnost obavljanja dnevnih aktivnosti na temelju standardnog sustava ocjenjivanja. Nakon 26 tjedana, primjena lijeka Soliris dovela je do smanjenja od 4,7 bodova na ljestvici, dok je primjena placeba dovela do smanjenja od 2,8 bodova. Smanjenje rezultata za dva boda upućuje na klinički značajno poboljšanje bolesnikova stanja.

Slični su rezultati zabilježeni u djece. U glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 11 djece starije od 12 godina utvrđeno je da je lijek Soliris poboljšao simptome i sposobnost bolesnika da obavljaju svakodnevne aktivnosti za 5,2 boda i 5,8 bodova nakon 12 tjedana odnosno 26 tjedana liječenja. Na temelju tih rezultata očekuje se da će lijek djelovati na sličan način i u djece u dobi od 6 do 12 godina.

NMOSD

Za liječenje NMOSD-a Soliris je uspoređen s placebom u jednom glavnom ispitivanju koje je uključivalo 143 odrasla bolesnika s NMOSD-om čija se bolest vratila. Mjerilo učinkovitosti bilo je vrijeme koje je proteklo dok se određenom dijelu bolesnika bolest nije vratila. Nakon prosječno 22 mjeseca, bolest se vratila kod 3 % bolesnika koji su primili Soliris, dok se kod 43 % bolesnika koji su primili placebo bolest u prosjeku vratila nakon 9 mjeseci.

Koji su rizici povezani s lijekom Soliris?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Soliris potražite u uputi o lijeku.

Najčešća nuspojava lijeka Soliris (koja se može javiti u više od 1 na 10 osoba) uključuje glavobolju. Najozbiljnija nuspojava koja se može javiti u do 1 na 100 osoba jest meningokokna sepsa (kada bakterije i njihovi otrovi kruže krvlju i oštećuju organe).

Zbog povećanog rizika od razvoja teškog oblika meningokokne sepse Soliris se ne smije davati osobama zaraženima bakterijom *Neisseria meningitidis*. Također se ne smije davati bolesnicima koji nisu cijepljeni protiv te bakterije, osim ako se cijepe i uzimaju odgovarajuće antibiotike radi smanjenja rizika od infekcije tijekom dva tjedna nakon cijepljenja.

Zašto je Soliris odobren u EU-u?

Pokazalo se da Soliris koristi bolesnicima s tim rijetkim bolestima. Sigurnosni profil bio je sličan za sve bolesti i smatrao se prihvatljivim. Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Soliris nadmašuju s njim povezane rizike te da može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Soliris?

Tvrtka koja lijek Soliris stavlja na tržište osigurat će distribuciju lijeka tek nakon što se provjeri je li bolesnik primio odgovarajuće cjepivo protiv bakterije *Neisseria meningitidis*. Također, tvrtka će propisivačima lijeka i bolesnicima osigurati informacije o sigurnoj primjeni lijeka, a propisivačima lijeka i ljekarnicima poslat će podsjetnike da provjere je li za bolesnike koji primaju lijek Soliris potrebno ponovno cijepljenje. Bolesnici će dobiti i karticu s objašnjenjem simptoma određenih vrsta infekcija, kojom ih se upućuje da odmah potraže medicinsku pomoć ako razviju te simptome.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Soliris također se nalaze u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Soliris kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Soliris pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Soliris

Za lijek Soliris izdano je odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od 20. lipnja 2007.

Više informacija o lijeku Soliris dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Soliris.

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 7. 2023.