



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/110175/2023
EMA/H/C/005652

Bekemv (ekulizumab)

A Bekemv-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Bekemv és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Bekemv paroxizmális nokturnális hemoglobinúriában (PNH) szenvedő felnőttek és gyermekek kezelésére alkalmazott gyógyszer. Ez egy olyan betegség, amelynél a vörsejtek túlzott mértékű szétesése vérszegénységet (a vörösvértestek alacsony szintje), trombózist (vérrögképződés az erekben), pánцитopéniát (alacsony vörösvértestszámot) és sötét színű vizeletet okoz.

A Bekemv „hasznos biológiai gyógyszer”. Ez azt jelenti, hogy a Bekemv nagy mértékben hasonló egy, az Európai Unióban (EU) már engedélyezett másik biológiai gyógyszerhez (a „referencia-gyógyszer”). A Bekemv referencia-gyógyszere a Soliris. A hasonló biológiai gyógyszerekkel kapcsolatban további információk [itt](#) találhatóak.

A Bekemv hatóanyaga az ekulizumab.

Hogyan kell alkalmazni a Bekemv-et?

A gyógyszer csak receptre kapható, és csak egészségügyi szakember adhatja be, olyan orvos felügyelete mellett, aki kellő tapasztalattal rendelkezik a vérbetegségek terén.

A Bekemv-et az első 2–5 hétben hetente, majd ezt követően kéthetente 25–45 percig (felnőttek) vagy 1–4 órán át (gyermekek) tartó infúzióban kell beadni. Az infúzió alatt és utána legalább 1 órán át az esetleges reakciók miatt megfigyelés alatt kell tartani a betegeket.

Azoknak a betegeknek, akiknél az első infúziók nem okoznak jelentős mellékhatásokat, az infúziót egy egészségügyi szakember otthon is beadhatja.

A Bekemv-et egész életen át kell alkalmazni, amennyiben a betegnél nem alakulnak ki súlyos mellékhatások.

A Bekemv alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



Hogyan fejti ki hatását a Bekemv?

A komplementrendszer az immunrendszer (a szervezet természetes védekezőrendszere) részét képező fehérjék csoportja. A PNH-ban szenvedő betegeknél a komplementrendszer túlzottan aktív, és károsítja a beteg saját vérésejtjeit.

A Bekemv hatóanyaga, az ekulizumab, egy antitest (egy fehérjetípus), amelyet úgy alakítottak ki, hogy a komplementrendszer C5 fehérjéjéhez kötődjön. A C5 gátlása révén az ekulizumab megakadályozza, hogy a komplementrendszer károsítsa a sejteket, ezáltal elősegíti a betegség tüneteinek enyhülését.

Milyen előnyei voltak a Bekemv alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Bekemv-et és a Soliris-t összehasonlító laboratóriumi vizsgálatok azt mutatták, hogy a Bekemv hatóanyaga a szerkezete, tisztasága és biológiai aktivitása tekintetében rendkívül hasonló a Soliris hatóanyagához. A vizsgálatok azt is igazolták, hogy a Bekemv alkalmazása hasonló hatóanyagszinteket eredményez a szervezetben, mint a Soliris alkalmazása.

Emellett egy 42, PNH-ban szenvedő beteg bevonásával végzett vizsgálat azt mutatta, hogy a Bekemv és a referencia-gyógyszer, a Soliris hasonló módon akadályozza meg a vörösvértestek szétesését.

Mivel a Bekemv hasonló biológiai gyógyszer, az ekulizumab hatásosságára és biztonságosságára vonatkozóan a Soliris-szel már elvégzett vizsgálatokat a Bekemv esetében nem szükséges megismételni.

Milyen kockázatokkal jár a Bekemv alkalmazása?

A Bekemv biztonságosságát értékelték, és az összes elvégzett vizsgálat alapján a gyógyszer mellékhatásai összehasonlíthatónak tekinthetők a Soliris referencia-gyógyszer mellékhatásaival.

A Bekemv alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás, valamint a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Bekemv leggyakoribb mellékhatása (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fejfájás, a legsúlyosabb mellékhatás pedig a meningokokkusz szepszis (amikor a baktérium megfertőzi a véráramot, ami a bőr és a szervek vérzését okozza).

A Bekemv nem adható 2 évesnél fiatalabb gyermekeknek, valamint örökletes fruktóztoleranciában (HFI, a fruktóz (gyümölcs-cukor) emésztésére való örökletes képtelenség) szenvedő betegeknél. A gyógyszer nem adható olyan betegeknél sem, akik a *Neisseria meningitidis* baktérium által okozott fertőzésben szenvednek, illetve akik jelenleg nincsenek beoltva a betegség ellen, kivéve, ha a vakcinációt követő 2 héten át antibiotikum-kezelésben részesülnek a fertőzés megelőzése érdekében.

Miért engedélyezték a Bekemv forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a hasonló biológiai gyógyszerekre vonatkozó európai uniós követelményeknek megfelelően a Bekemv szerkezete, tisztasága és biológiai aktivitása nagy mértékben hasonlít a Soliris-éhoz, és ugyanúgy oszlik el a szervezetben. Ezenfelül a PNH-ban szenvedő betegek bevonásával végzett vizsgálatok azt igazolták, hogy a Bekemv ugyanolyan biztonságos és hatásos, mint a Soliris.

Ezeket az adatokat elégségesnek tartották annak megállapításához, hogy a jóváhagyott javallatokban a Bekemv a hatásosság és biztonságosság szempontjából ugyanúgy fog viselkedni, mint a Soliris. Ezért

az Ügynökségnek az volt a véleménye, hogy a Soliris-hez hasonlóan a Bekemv alkalmazásának előnyei meghaladják az azonosított kockázatokat, és a forgalombahozatali engedély kiadható.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Bekemv biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Bekemv-et forgalmazó vállalat biztosítani fogja, hogy a gyógyszer adása csak a beteg megfelelő beoltottságának ellenőrzése után történjen, és emlékeztetőket fog küldeni a gyógyszert felíró orvosoknak, illetve a gyógyszerészeknek, hogy ellenőrizzék a betegek oltási státuszát.

A vállalat útmutatót fog rendelkezésre bocsátani a gyógyszert felíró orvosok és a betegek számára a gyógyszer biztonságosságáról. A betegek „biztonsági kártyát” is kapnak, amely elmagyarázza bizonyos fertőzéstípusok tüneteit, valamint utasítást tartalmaz arra vonatkozóan, hogy a betegek azonnal forduljanak orvoshoz, ha ezeket tapasztalják, továbbá emlékeztetőt tartalmaz arra vonatkozóan, hogy a gyógyszer nem adható 2 év alatti gyermekeknek és HFI-ben szenvedő betegeknek.

A Bekemv biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Bekemv alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Bekemv alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Bekemv-vel kapcsolatos egyéb információ

A Bekemv-vel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/bekemv.