



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/156583/2023
EMA/H/C/006036

Epysqli (*ekulizumab*)

Az Epysqli-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Epysqli és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Epysqli-t paroxizmális nokturnális hemoglobinúriában (PNH) szenvedő felnőttek és gyermekek kezelésére alkalmazzák. Ez egy olyan betegség, amelynél a vörösvérsejtek túlzott mértékű lebomlása különböző orvosi szövődményeket, például vérszegénységet (a vörösvértestek alacsony szintje) okoz.

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

Az Epysqli hatóanyaga az ekulizumab.

Hogyan kell alkalmazni az Epysqli-t?

Az Epysqli csak receptre kapható, és kizárólag egészségügyi szakember adhatja be a vérbetegségek terén jártas orvos felügyelete mellett.

Az Epysqli-t az első 2–5 hétben hetente, majd ezt követően kéthetente 25–45 percig (felnőttek), illetve 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. Az Epysqli-t egész életen át kell alkalmazni, amennyiben a betegnél nem alakulnak ki súlyos mellékhatások.

Az Epysqli alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegájékoztatót, 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 az Epysqli?

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.

Az Epysqli 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 az Epysqli alkalmazásának a vizsgálatok során?

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

Ezenfelül egy 50, PNH-ban szenvedő beteg bevonásával végzett vizsgálatban a laktát-dehidrogenáz (LDH) enzim vérszintjét hasonlították össze az Epysqli-kezelést és a Soliris-kezelést követően. Az alacsonyabb LDH-szint azt jelenti, hogy csökken a vörösvérsejtek lebomlása. A vizsgálat megállapította, hogy 6 hónapos kezelést követően az Epysqli-kezelés után az átlagos LDH-szint hasonló volt a Soliris-nál megfigyelthez (az Epysqli esetében körülbelül 284 egység literenként, a Soliris esetében pedig 250 egység literenként).

Mivel az Epysqli hasonló biológiai gyógyszer, az ekulizumab hatásosságára és biztonságosságára vonatkozóan a Soliris-szal végzett vizsgálatokat az Epysqli esetében nem szükséges teljes mértékben megismételni.

Milyen kockázatokkal jár az Epysqli alkalmazása?

Az Epysqli biztonságosságának értékelése céljából végzett valamennyi vizsgálat alapján a gyógyszer mellékhatásai hasonlóknak tekinthetők a Soliris referencia-gyógyszer mellékhatásaihoz.

Az Epysqli alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

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

A meningokokkusz szepszis kialakulásának fokozott kockázata miatt az Epysqli nem alkalmazható *Neisseria meningitidis* által okozott, folyamatban lévő fertőzés esetén. A gyógyszer nem adható olyan betegeknél sem, akik jelenleg nincsenek beoltva a baktérium ellen, kivéve, ha megkapták a védőoltást, és megfelelő antibiotikumokat szednek a fertőzés kockázatának csökkentésére a beadást követően 2 héten keresztül.

Miért engedélyezték az Epysqli forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a hasonló biológiai gyógyszerekre vonatkozó európai uniós követelményeknek megfelelően az Epysqli a szerkezete, tisztasága és biológiai aktivitása tekintetében rendkívül hasonló a Soliris-hoz, és ugyanúgy oszlik el a szervezetben. Ezenfelül egy, PNH-ban szenvedő betegekkel végzett vizsgálat azt igazolta, hogy az Epysqli ugyanolyan biztonságos és hatékony, mint a Soliris a PNH-ban.

Ezeket az adatokat elégségesnek tartották annak megállapításához, hogy a PNH-ra engedélyezett alkalmazás során az Epysqli a hatásosság és biztonságosság szempontjából ugyanúgy fog viselkedni, mint a Soliris. Ezért az Ügynökségnek az volt a véleménye, hogy a Soliris-hez hasonlóan az Epysqli alkalmazásának előnyei meghaladják az azonosított kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Epysqli biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Epysqli-t forgalmazó vállalat gondoskodik arról, hogy a gyógyszer kiadására csak annak ellenőrzése után kerüljön sor, hogy a beteget megfelelően beoltották. A vállalat a gyógyszert felíró orvosok és a betegek számára a gyógyszer biztonságosságáról is tájékoztatást fog nyújtani, valamint emlékeztetőt küld a gyógyszert felíró orvosoknak, illetve a gyógyszerészeknek, hogy ellenőrizzék a betegek oltási állapotát.

A vállalat útmutatót fog rendelkezésre bocsátani a gyógyszert felíró orvosok és a betegek számára a gyógyszer biztonságosságáról. A betegek egy „biztonsági kártyát” is kapnak, amely elmagyarázza bizonyos fertőzéstípusok tüneteit, valamint azt, hogy azonnal forduljanak orvoshoz, ha ezeket tapasztalják.

Az Epysqli 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.

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

Az Epysqli-vel kapcsolatos egyéb információ

Az Epysqli-vel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/epysqli.