



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Piasky (*krovalimab*)

A Piasky-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Piasky és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Piasky paroxizmális nokturnális hemoglobinuriában (PNH) szenvedő felnőttek és 12 évesnél idősebb, legalább 40 kg testsúlyú gyermekek kezelésére szolgáló gyógyszer.

A PNH egy olyan betegség, amelyben a túlzott hemolízis (a vörösvérsejtek lebomlása) vérszegénységet (a hemoglobin, azaz a vörösvérsejtekben található, az oxigént a szervezetben szállító fehérje alacsony szintje), trombózist (vérrögképződés az erekben), pánцитopéniát (a vérsejtek alacsony szintje) és sötét vizeletet (a hemoglobin nagy mennyiségben történő felszabadulása miatt) okoz.

A Piasky-t hemolízisben szenvedő és magas betegségaktivitás tüneteit mutató betegeknél alkalmazzák, valamint olyan betegeknél, akik legalább 6 hónapig stabilak voltak egy C5-inhibitorral (a PNH kezelésére alkalmazott másik gyógyszer) végzett kezelés során.

A Piasky hatóanyaga a krovalimab.

Hogyan kell alkalmazni a Piasky-t?

A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést a vérrel kapcsolatos rendellenességekben szenvedő betegek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie.

A Piasky első adagját vénás infúzió formájában adják be. Ezt követően a gyógyszert bőr alá adott injekció formájában, az első 4 hétben hetente egyszer, majd azt követően négyhetente egyszer alkalmazzák. Megfelelő betanítást követően a betegek befecskendezhetik a gyógyszert otthon, orvosi felügyelet nélkül is.

A Piasky-t hosszú távú alkalmazásra szánták, kivéve, ha a betegnél súlyos mellékhatások alakulnak ki.

A Piasky 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 a Piasky?

A Piasky hatóanyaga, a krovalimab, egy monoklonális antitest (azaz egy fehérjetípus), amelyet úgy alakítottak ki, hogy a szervezet védekezőrendszerének, az úgynevezett „komplement rendszernek” a részét képező C5 komplement fehérjéhez kötődjön.

A PNH-ban szenvedő betegeknél a komplement fehérjék túlzottan aktívak, és károsítják a betegek saját sejtjeit. A C5 gátlásával a krovalimab megakadályozza, hogy a komplement fehérjék károsítsák a sejteteket, különösen a vörösvérsejteteket, ezáltal segít enyhíteni a betegség tüneteit.

Milyen előnyei voltak a Piasky alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálatban, amelyben 204 olyan, PNH-ban szenvedő felnőtt beteg vett részt, akiket korábban nem kezeltek komplementgátlóval, a Piasky ugyanolyan hatékony volt, mint az ekulizumab (a PNH kezelésére alkalmazott másik gyógyszer) a hemolízis kontrollálásában és a vérátömlesztés szükségességének csökkentésében.

24 hetes kezelést követően a Piasky-val kezelt betegek körülbelül 79%-a volt képes kontrollálni a hemolízist, amelyet a laktát-dehidrogenáz (LDH) enzim vérszintje alapján mértek, amely a vörösvérsejtek lebomlását tükrözi; ez az érték az ekulizumabot kapó betegeknél is körülbelül 79% volt. Ezenfelül a Piasky-val kezelt betegek 66%-ánál (134-ből 88-nál) és az ekulizumabbal kezelt betegek 68%-ánál (69-ből 47-nél) nem volt szükség vérátömlesztésre a vörösvérsejtek szintjének növeléséhez.

Ezeket az eredményeket egy 6, PNH-ban szenvedő gyermekből álló, Piasky-t kapó kis csoportban is megfigyelték.

Milyen kockázatokkal jár a Piasky alkalmazása?

A Piasky alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A leggyakoribb mellékhatások (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a III-as típusú immunkomplex-közvetített reakciók (rendellenes immunreakció, amelynél az antitestek a gyógyszerhez kapcsolódnak, és a test szöveteiben képződő klasztereket képeznek, ami lázat, ízületi fájdalmat, viszketést és kiütést okoz) olyan betegeknél, akiket egy másik C5 inhibitorral végzett kezelésről Piasky-ra állítottak át, a felső légúti (orr- és torok) fertőzés, a láz, a fejfájás és az infúzióval kapcsolatos reakciók.

A legsúlyosabb mellékhatások (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a III-as típusú immunkomplex-közvetített reakciók olyan betegeknél, akiket egy másik C5 inhibitorral végzett kezelésről Piasky-ra állítottak át és a tüdőgyulladás (pneumónia).

A Piasky hatásmechanizmusa alapján növelheti a fertőzések, köztük a meningococcus okozta szepszis kockázatát. A Piasky nem alkalmazható *Neisseria meningitidis* által okozott fertőzés esetén; és nem alkalmazható a baktérium ellen védőoltást még nem kapott személyeknél sem, kivéve, ha a védőoltás tervbe van véve és megfelelő antibiotikumokat szednek a fertőzés kockázatának csökkentésére a védőoltást megelőzően és azt követően két hétig.

Miért engedélyezték a Piasky forgalomba hozatalát az EU-ban?

A PNH-ban szenvedő betegeknél a tünetek egész életen át tartó kezelésére van szükségük. A Piasky egy további kezelési lehetőséget biztosít, amelyet a kezelés első 4 hete után csak négyhetente kell alkalmazni, és otthon öninjekciózható. A Piasky előnyei a hemolízis kontrollja és a vérátömlesztések

iránti igény csökkentése tekintetében egy másik C5 inhibitorhoz hasonlónak bizonyultak. A gyógyszer biztonságossági profilját kezelhetőnek tartották, figyelembe véve a kockázatok minimalizálása érdekében hozott, érvényben lévő intézkedéseket. Azoknál a betegeknél, akik más C5 inhibitorokról áttérnek a Piasky-ra, a III-as típusú immunkomplex-közvetített reakciók olyan várható kockázatot jelentenek, amelyet figyelembe kell venni. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Piasky alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

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

A Piasky-t forgalmazó vállalat gondoskodni fog arról, hogy a gyógyszer felírására csak annak ellenőrzése után kerüljön sor, hogy a beteget beoltották-e az *N. meningitidis* ellen, valamint emlékeztetőket küld a gyógyszert felíró orvosoknak és a gyógyszerészeknek, hogy ellenőrizzék, a Piasky-t szedő betegeknél szükség van-e további oltásra. A vállalat továbbá oktatási anyagokat fog biztosítani az orvosok és a betegek számára a meningococcus baktériumok által okozott fertőzések kockázatáról, a vakcinázás szükségességéről és a súlyos hemolízis kezelés utáni kockázatáról. Ezenkívül a betegek egy kártyát is kapnak, amelyet mindig maguknál kell hordaniuk, és amely tartalmazza a meningococcus fertőzések és a súlyos allergiás reakciók legfontosabb jeleire és tüneteire vonatkozó információkat, valamint a sürgősségi orvosi ellátás igénylésére vonatkozó utasításokat.

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

A Piasky-val kapcsolatos egyéb információ

A Piasky-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/piasky.