



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Epysqli (*eculizumab*)

Sintesi di Epysqli e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Epysqli e per cosa si usa?

Epysqli è un medicinale usato per il trattamento di adulti e bambini affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN), una malattia in cui un'eccessiva degradazione dei globuli rossi provoca varie complicazioni mediche, tra cui anemia (bassi livelli di globuli rossi).

Epysqli è un "medicinale biosimilare". Ciò significa che è molto simile a un altro medicinale biologico (il "medicinale di riferimento") che è già stato autorizzato nell'UE. Il medicinale di riferimento di Epysqli è Soliris. Per maggiori informazioni sui medicinali biosimilari, cliccare [qui](#).

Epysqli contiene il principio attivo eculizumab.

Come si usa Epysqli?

Epysqli può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e deve essere somministrato da un operatore sanitario e sotto la supervisione di un medico esperto di malattie del sangue.

Epysqli viene somministrato per infusione (flebo) in vena nell'arco di 25-45 minuti (adulti) o di 1-4 ore (bambini) ogni settimana per le prime 2-5 settimane e successivamente ogni due settimane. Durante l'infusione e per almeno un'ora dopo il termine della stessa i pazienti sono sottoposti a monitoraggio per verificare che non vi siano reazioni.

Nei pazienti che non manifestano effetti indesiderati importanti con le prime infusioni, le medesime possono essere somministrate a casa da un operatore sanitario. Epysqli deve essere somministrato per tutta la vita, a meno che il paziente non sviluppi effetti indesiderati gravi.

Per maggiori informazioni sull'uso di Epysqli, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Epysqli?

Il complemento è un insieme di proteine che fa parte del sistema immunitario (le difese naturali dell'organismo). Nei pazienti affetti da EPN, il complemento è iperattivo e danneggia le cellule del sangue degli stessi.

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



Il principio attivo di Epysqli, eculizumab, è un anticorpo (un tipo di proteina) concepito per legarsi alla proteina C5 del complemento. Bloccando la C5, eculizumab impedisce al complemento di danneggiare le cellule, alleviando in tal modo i sintomi della malattia.

Quali benefici di Epysqli sono stati evidenziati negli studi?

Studi di laboratorio che hanno messo a confronto Epysqli e Soliris hanno dimostrato che il principio attivo di Epysqli è molto simile a quello di Soliris in termini di struttura, purezza e attività biologica. Gli studi hanno anche dimostrato che la somministrazione di Epysqli produce livelli di principio attivo nell'organismo simili a quelli ottenuti con Soliris.

Inoltre, uno studio condotto su 50 pazienti affetti da EPN ha confrontato i livelli ematici dell'enzima lattato deidrogenasi (LDH) dopo il trattamento con Epysqli e il trattamento con Soliris. Livelli inferiori di LDH corrispondono a una riduzione della degradazione dei globuli rossi. Lo studio ha rilevato che, dopo sei mesi di trattamento, i livelli medi di LDH con Epysqli erano simili a quelli osservati con Soliris (circa 284 unità per litro con Epysqli rispetto a 250 unità per litro con Soliris).

Poiché Epysqli è un medicinale biosimilare, gli studi effettuati su Soliris in merito all'efficacia e alla sicurezza di eculizumab non devono essere tutti ripetuti per Epysqli.

Quali sono i rischi associati a Epysqli?

La sicurezza di Epysqli è stata valutata e, sulla base di tutti gli studi effettuati, gli effetti indesiderati del medicinale sono considerati paragonabili a quelli del medicinale di riferimento Soliris.

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Epysqli, vedere il foglio illustrativo.

L'effetto indesiderato più comune di Epysqli (che può riguardare più di 1 persona su 10) è la cefalea e l'effetto indesiderato più grave è la sepsi meningococcica (infezione batterica del flusso sanguigno, con conseguente sanguinamento della cute e degli organi).

A causa del maggiore rischio di sviluppare sepsi meningococcica, Epysqli non deve essere somministrato a soggetti con infezione in corso causata da *Neisseria meningitides*. Inoltre, non deve essere somministrato a pazienti che non sono attualmente vaccinati contro questo batterio, a meno che non vengano vaccinati e non siano loro somministrati antibiotici adeguati a ridurre il rischio di infezione per due settimane dopo la somministrazione.

Perché Epysqli è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che, conformemente ai requisiti dell'UE per i medicinali biosimilari, Epysqli presenta una struttura, una purezza e un'attività biologica molto simili a Soliris e viene distribuito nell'organismo nello stesso modo. Inoltre, uno studio condotto su pazienti affetti da EPN ha dimostrato che la sicurezza e l'efficacia di Epysqli sono equivalenti a quelle di Soliris in tale affezione.

Tutti questi dati sono stati considerati sufficienti per concludere che Epysqli si comporterà allo stesso modo di Soliris in termini di efficacia e sicurezza nell'uso autorizzato per l'EPN. Pertanto, l'Agenzia ha ritenuto che, come nel caso di Soliris, i benefici di Epysqli siano superiori ai rischi individuati e il suo uso possa essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Epysqli?

La ditta che commercializza Epysqli garantirà che il medicinale sia distribuito solo una volta accertato che il paziente sia stato adeguatamente vaccinato. La ditta fornirà inoltre ai medici prescriventi e ai pazienti informazioni sulla sicurezza del medicinale e invierà a tali medici o ai farmacisti promemoria per verificare lo stato vaccinale dei pazienti.

La ditta fornirà ai predetti medici e ai pazienti una guida sulla sicurezza del medicinale. Ai pazienti verrà inoltre consegnata una scheda di sicurezza nella quale sono spiegati i sintomi di determinati tipi di infezione, con l'avvertimento di rivolgersi immediatamente al medico in caso di comparsa di tali sintomi.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Epysqli sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Epysqli sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Epysqli sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Epysqli

Ulteriori informazioni su Epysqli sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/epysqli.