



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Piasky (*crovalimab*)

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

Cos'è Piasky e per cosa si usa?

Piasky è un medicinale indicato per il trattamento di adulti e bambini di età superiore a 12 anni, di peso pari o superiore a 40 kg, affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN).

L'EPN è una malattia in cui l'eccessiva emolisi (rottura dei globuli rossi) causa anemia (bassi livelli di emoglobina, la proteina dei globuli rossi che trasporta l'ossigeno nell'organismo), trombosi (coaguli nei vasi sanguigni), pancitopenia (bassi livelli di cellule ematiche) e urine scure (a causa del rilascio di grandi quantità di emoglobina nelle urine).

Piasky è usato in pazienti affetti da emolisi e sintomi di elevata attività della malattia nonché in pazienti che sono rimasti stabili durante il trattamento con un inibitore del C5 (un altro medicinale usato per il trattamento dell'EPN) per almeno 6 mesi.

Piasky contiene il principio attivo crovalimab.

Come si usa Piasky?

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato da un medico esperto nella gestione di pazienti affetti da disturbi ematologici.

La prima dose di Piasky è somministrata sotto forma di infusione (flebo) in vena. Successivamente, il medicinale viene somministrato mediante iniezione sottocutanea una volta alla settimana per le prime quattro settimane e successivamente una volta ogni quattro settimane. Dopo aver ricevuto una formazione adeguata, i pazienti possono iniettare il medicinale a casa senza controllo medico.

Piasky è destinato all'uso a lungo termine, a meno che il paziente non sviluppi effetti indesiderati gravi.

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

Come agisce Piasky?

Il principio attivo contenuto in Piasky, eculizumab, è un anticorpo monoclonale (un tipo di proteina) in grado di legarsi alla proteina del complemento 5 (C5), che fa parte del sistema di difesa dell'organismo chiamato "sistema del complemento".

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



Nei pazienti affetti da EPN, le proteine del complemento sono super-attive e danneggiano le cellule del paziente stesso. Bloccando il C5, crovalimab impedisce alle proteine del complemento di danneggiare le cellule, in particolare i globuli rossi, contribuendo in tal modo ad alleviare i sintomi della malattia.

Quali benefici di Piasky sono stati evidenziati negli studi?

In uno studio principale condotto su 204 pazienti adulti affetti da EPN che non erano stati precedentemente trattati con un inibitore del complemento, Piasky si è dimostrato efficace quanto eculizumab (un altro medicinale per EPN) nel controllare l'emolisi e nel ridurre la necessità di trasfusioni di sangue.

Dopo 24 settimane di trattamento, circa il 79 % dei pazienti trattati con Piasky è stato in grado di ottenere il controllo dell'emolisi, misurato dal livello ematico dell'enzima lattato deidrogenasi (LDH), che riflette la rottura dei globuli rossi; anche nei pazienti trattati con eculizumab tale valore era pari a circa il 79 %. Inoltre, il 66 % (88 su 134) dei pazienti trattati con Piasky e il 68 % (47 su 69) dei pazienti trattati con eculizumab non ha avuto bisogno di una trasfusione di sangue per aumentare il livello dei globuli rossi.

Questi risultati sono stati osservati anche in un piccolo gruppo di 6 bambini affetti da EPN ai quali è stato somministrato Piasky.

Quali sono i rischi associati a Piasky?

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

Gli effetti indesiderati più comuni (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono reazioni mediate da immunocomplessi di tipo III (una reazione immunitaria anomala in cui gli anticorpi si legano al medicinale e formano cluster che si accumulano nei tessuti corporei, provocando sintomi che includono febbre, dolore articolare, prurito ed eruzione cutanea) nei pazienti che sono passati dal trattamento con un altro inibitore del C5 a Piasky, infezione delle vie respiratorie superiori (naso e gola), febbre, cefalea e reazioni correlate all'infusione.

Gli effetti indesiderati più gravi (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) includono la reazione mediata dal complesso immunitario di tipo III nei pazienti che sono passati dal trattamento con un altro inibitore del C5 a Piasky e l'infezione polmonare.

Sulla base di come Piasky agisce, può aumentare il rischio di infezioni, compresa la sepsi meningococcica. Piasky non deve essere somministrato a persone affette da un'infezione causata da *Neisseria meningitides*; inoltre, non deve essere somministrato a pazienti che non sono stati vaccinati contro questo batterio, a meno che non abbiano pianificato la vaccinazione e adottino antibiotici adeguati per ridurre il rischio di infezione fino alla vaccinazione e per le due settimane successive.

Perché Piasky è autorizzato nell'UE?

Le persone affette da EPN necessitano di un trattamento permanente per i loro sintomi. Piasky fornisce un'opzione terapeutica aggiuntiva che, dopo le prime 4 settimane di trattamento, deve essere assunta solo una volta ogni 4 settimane e può essere auto-iniettata a casa. I benefici di Piasky si sono dimostrati paragonabili a un altro inibitore del C5 in termini di controllo dell'emolisi e di riduzione della necessità di trasfusioni di sangue. Il suo profilo di sicurezza è considerato gestibile in considerazione delle misure in atto per ridurre al minimo i rischi. Nei pazienti che passano a Piasky da altri inibitori del C5, le reazioni immunitarie complesse di tipo III sono un rischio atteso che deve essere preso in

considerazione. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Piasky sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

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

La ditta che commercializza Piasky garantirà che la prescrizione del medicinale avvenga solo dopo aver verificato che il paziente sia stato vaccinato contro *N. meningitides* e invierà promemoria ai medici prescrittori e ai farmacisti per verificare l'eventuale necessità di ulteriori vaccinazioni per i pazienti che assumono Piasky. La ditta fornirà inoltre ai medici e ai pazienti materiale informativo sul rischio di infezioni causate da batteri meningococcici, sulla necessità di vaccinazione e sul rischio di emolisi grave dopo l'interruzione del trattamento. Inoltre, i pazienti riceveranno una scheda che devono sempre portare con sé con informazioni sui principali segni e sintomi delle infezioni meningococciche e delle gravi reazioni allergiche nonché istruzioni su quando rivolgersi a un medico di emergenza.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Piasky 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 Piasky sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Piasky sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Piasky

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

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