



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/305920/2023
EMA/H/C/000791

Soliris (*eculizumab*)

Ħarsa ġenerali lejn Soliris u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Soliris u għal xiex jintuża?

Soliris huwa mediċina li tintuża għat-trattament ta' adulti u tfal b'emoglobinurja notturna parossismali (PNH, paroxysmal nocturnal haemoglobinuria) u b'sindrome uremiku emolitiku atipiku (aHUS - atypical haemolytic uraemic syndrome).

Dan huwa mard ġenetiku li hu ta' periklu għall-ħajja u li jikkawża t-tkissir ta' ċelluli ħomor tad-demem li jirriżulta f'diversi kumplikazzjonijiet mediċi. Il-marda PNH tirriżulta fl-anemija (għadd baxx ta' ċelluli ħomor tad-demem), fit-trombożi (koagulazzjoni tad-demem fil-vażijiet), fil-panċitopenija (għadd baxx taċ-ċelluli tad-demem) u fl-urina skura, filwaqt li l-marda aHUS tirriżulta fl-anemija, fit-trombocitopenija (tnaqqis fl-għadd tal-pjastrini, li huma komponenti li jgħinu d-demem jagħqad) u indeboliment renali.

Soliris jintuża biex jittratta adulti u tfal minn sitt snin 'il fuq b'mijastenija gravi (myasthenia gravis, marda fejn is-sistema immunitarja tattakka u tagħmel il-ħsara liċ-ċelluli tal-muskoli u b'hekk tikkawża dgħufija fil-muskoli), li ma ħadmx mediċini oħra fihom (refractory generalised myasthenia gravis (mijastenija gravi ġeneralizzata refrattorja)), refractory gMG (gMG refrattorja) u li għandhom antikorp speċifiku f'ġisimhom li jissejjaħ antikorp AChR.

Soliris jintuża wkoll biex jittratta adulti b'disturb ta' newromajelite optica spectrum (NMOSD, neuromyelitis optica spectrum disorder), marda fejn is-sistema immunitarja tagħmel ħsara liċ-ċelluli tan-nervituri u tikkawża problemi l-aktar man-nerv ottiku (tal-għajnejn) u s-sinsla tad-dahar (tessut tan-nervituri li jibda mill-bażi tal-kranju 'l isfel taċ-ċentru tad-dahar). Jintuża f'pazjenti li għandhom antikorp imsejjaħ AQP4 u li l-marda tagħhom tkun rikaduta (meta l-pazjent ikollu attakki [rikaduti] bejn perjodi mingħajr sintomi).

Soliris fih is-sustanza attiva eculizumab.

Dan il-mard huwa rari, u Soliris ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari). Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjonijiet orfni tista' tinstab fuq is-sit web tal-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ([PNH](#): 17 ta' Ottubru 2003; [aHUS](#): 24 ta' Lulju 2009; [mijastenija gravi](#): 29 ta' Lulju 2014; [NMOSD](#): 24 ta' April 2019).



Kif jintuża Soliris?

Il-medicina tista' tinkiseb biss b'ricetta ta' tabib u għandha tingħata taħt is-supervizjoni ta' tabib li jkollu esperjenza fil-ġestjoni ta' pazjenti b'disturbi fil-kliewi u b'disturbi li jaffettwaw is-sistema nervuża jew id-demm.

Soliris jingħata bħala infużjoni (dripp) ġo vina u d-doża rakkomandata tiddependi mir-raġuni għal xiex se jintuża, u għal pazjenti li jkunu taħt l-età ta' 18-il sena, mill-piż tal-ġisem tagħhom. Fil-bidu Soliris jingħata kull ġimgħa mbagħad kull ġimagħtejn jew tliet ġimgħat.

Il-pazjenti jiġu mmonitorjati għal kwalunkwe reazzjoni matul l-infużjoni u għal tal-inqas siegħa wara. F'każ ta' xi reazzjoni relatata mal-infużjoni, it-tabib jista' jdedwem jew iwaqqaf l-infużjoni.

F'xi pazjenti li jirċievu skambju tal-plażma (it-tneħħija, it-trattament u t-treġġiġ lura tal-plażma tad-demm tagħhom stess) jew infużjoni tal-plażma, ikun hemm bżonn ta' doži addizzjonali ta' Soliris.

Soliris għandu jingħata tul il-ħajja kollha sakemm il-pazjent ma jiżviluppax effetti sekondarji serji. It-trattament għandu jitwaqqaf ukoll f'pazjenti b'gMG refrattorja li ma jirrispondux għal Soliris wara 12-il ġimgħa.

Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Soliris, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.

Kif jaħdem Soliris?

Is-sustanza attiva f'Soliris, l-eculizumab, hija antikorp monoklonali (tip ta' proteina) li ġiet iddisinjata biex teħel mal-proteina C5 tal-komplement, li hija parti mis-sistema tad-difiża tal-ġisem imsejja s- "sistema tal-komplement".

F'pazjenti bil-PNH, bl-aHUS, bil-gMG refrattorja u bl-NMOSD, il-proteini tal-komplement huma attivati żżejjed u jagħmlu ħsara liċ-ċelluli tal-pazjenti stess. Bl-imblukkar tal-proteina C5 tal-komplement, l-eculizumab ma tħallix lill-proteini tal-komplement jagħmlu ħsara liċ-ċelluli, u b'hekk tgħinhom itaffu s-sintomi ta' dan il-mard.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Soliris li ħarġu mill-istudji?

PNH

Għall-PNH, Soliris tqabbel mal-placebo (trattament fint) fi studju ewlieni wieħed li involva 87 adult bil-PNH li kienu ħadu tal-inqas erba' trasfużjonijiet tad-demm għall-anemija fis-sena preċedenti. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien l-effett ta' Soliris fuq il-livelli tad-demm tal-emoglobina u l-bżonn ta' trasfużjonijiet. L-emoglobina hija l-proteina fiċ-ċelluli ħomor tad-demm li ġgħorr l-ossiġnu madwar il-ġisem. F'pazjenti bil-PNH, it-tkissir taċ-ċelluli ħomor tad-demm iwassal għal tnaqqis fil-livelli tal-emoglobina. It-trattament b'Soliris fuq 26 ġimgħa wassal għal livelli stabbli tal-emoglobina f'49 % tal-pazjenti (21 minn 43), mingħajr il-bżonn ta' trasfużjonijiet taċ-ċelluli ħomor tad-demm. Min-naħa l-oħra, ħadd mill-44 pazjent li kienu qed jirċievu l-placebo ma kellu livelli stabbli tal-emoglobina, u dawn kellhom bżonn medja ta' 10 trasfużjonijiet.

Fi studju fuq sebat itfal bil-PNH li kienu ħadu minn tal-inqas trasfużjoni waħda fis-sentejn preċedenti, il-pazjenti kollha rċewu Soliris. Sitta minn seba' pazjenti ma kellhom bżonn l-ebda trasfużjoni ta' ċelluli ħomor tad-demm, u l-livelli tal-emoglobina tjebru matul it-12-il ġimgħa ta' trattament b'Soliris.

Studju ta' registru ta' pazjenti bil-PNH li qatt ma kienu ħadu trasfużjoni tad-demmi ħares lejn il-livelli tal-enzima lattatdeidroġenazi (LDH) fid-demmi. Il-livelli ta' LDH joġhlew hekk kif jiżdied it-tkissir taċċelluli ħomor tad-demmi. L-istudju sab li trattament b'Soliris għal 6 xhur wassal għal tnaqqis klinikament sinifikanti fil-livelli ta' LDH, li jindika tkissir imnaqqas taċċelluli ħomor tad-demmi.

aHUS

Għall-aHUS, Soliris ġie studjat fi tliet studji ewlenin li involvew 67 pazjent. L-ewwel studju involva 17-il pazjent bl-aHUS li ma rrispondewx għal jew li ma setgħux jiġu ttrattati bi skambju tal-plażma jew b'infużjoni. It-trattament b'Soliris żied l-għadd tal-pjastrini fi 82 % tal-pazjenti, u l-għadd tal-pjastrini għola għal livelli normali f'87 % (13 minn 15-il pazjent) li fil-bidu kellhom għadd tal-pjastrini baxx. Barra minn hekk, 76 % kisbu normalizzazzjoni ematoloġika (livelli tal-pjastrini u ta' LDH fi ħdan livelli normali).

It-tieni studju, li involva 20 pazjent bl-aHUS li kienu diġà qed jirċievu skambju tal-plażma jew infużjoni, irriżulta fi 80 % tal-pazjenti ma jkollhomx aktar bżonn ta' skambju tal-plażma, infużjoni jew dijalizi u f'90 % tal-pazjenti jkissbu normalizzazzjoni ematoloġika wara t-trattament b'Soliris.

It-tielet studju involva 30 pazjent bl-aHUS li kienu rċevew tal-inqas doża waħda ta' Soliris. It-trattament żied l-għadd tal-pjastrini għal livelli normali fi 83 % tal-pazjenti, waqt li l-għadd tal-pjastrini għola għal livelli normali f'77 % (10 minn 13-il pazjent) li fil-bidu kellhom għadd tal-pjastrini baxx.

gMG refrattorja

Soliris tqabbel mal-plaċebo fi studju ewleni wieħed li involva 126 adult b'mijastenija gravi li preċedentement kienu rċevew trattament standard li ma kienx irnexxa. It-trattament b'Soliris tejjeb is-sintomi tal-pazjenti u l-abbiltà tagħhom li jagħmlu attivitajiet ta' kuljum abbażi ta' sistema ta' punteġġ standard. Soliris wassal għal tnaqqis ta' 4.7 punti fuq l-iskala waqt li l-plaċebo wassal għal tnaqqis ta' 2.8 punti wara 26 ġimgħa. Tnaqqis fil-punteġġ b'2 punti jindika titjib klinikament sinifikanti tal-kondizzjoni tal-pazjent.

Riżultati simili deheru fit-tfal. Studju ewleni fi 11-il tifel u tifla ta' aktar minn 12-il sena wera li Soliris tejjeb is-sintomi u l-kapaċità tal-pazjenti li jwettqu attivitajiet ta' kuljum b'5.2 u 5.8 punti wara 12-il ġimgħa u 26 ġimgħa ta' trattament rispettivament. Abbażi ta' dawn ir-riżultati, il-medicina hija mistennija li taħdem ukoll b'mod simili fi tfal ta' bejn is-6 snin u t-12-il sena.

NMOSD

Għall-NMOSD, Soliris tqabbel mal-plaċebo fi studju ewleni wieħed li involva 143 adult bl-NMOSD li l-marda tagħhom kienet rikaduta. Il-kejl ewleni tal-effikaċja kien iż-żmien sakemm ċertu numru ta' pazjenti esperjenzaw rikaduta. Wara madwar medja ta' 22 xhur, 3 % tal-pazjenti ttrattati b'Soliris esperjenzaw rikaduta, filwaqt li 43 % tal-pazjenti ttrattati bil-plaċebo kien diġà kellhom rikaduta wara madwar medja ta' 9 xhur.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Soliris?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Soliris, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effett sekondarju l-aktar komuni b'Soliris (li jista' jaffettwa aktar minn persuna 1 minn kull 10) huwa wġiġh ta' ras. L-effett sekondarju l-aktar serju, li jista' jaffettwa sa persuna 1 minn kull 100, huwa sepsi meningokokkali (meta l-batterji u t-tossini tagħhom jiċċirkolaw fid-demmi u jagħmlu ħsara lill-organi).

Minhabba riskju miżjud ta' żvilupp ta' sepsi meningokokkali, Soliris m'għandux jingħata lil persuni li għandhom infezzjoni kkawżata minn *Neisseria meningitidis*; dan lanqas m'għandu jingħata lil pazjenti li ma tlaqqmux kontra dan il-batterju, sakemm dawn ma jiħdux it-tilqima u jieħdu l-antibijotiċi xierqa biex inaqqsu r-riskju ta' infezzjoni għal ġimagħtejn wara t-tilqima.

Għaliex Soliris ġie awtorizzat fl-UE?

Intwera li Soliris huwa ta' benefiċċju għall-pazjenti b'dan il-mard rari. Il-profil tas-sigurtà kien simili għall-mard kollu u tqies aċċettabbli. L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Soliris huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Soliris?

Il-kumpanija li tqiegħed Soliris fis-suq se tiżgura li t-tqassim tal-mediċina jsir biss wara li jkun ġie vverifikat li l-pazjent ikun tlaqqam kif xieraq kontra *Neisseria meningitides*. Il-kumpanija se tipprovdi wkoll informazzjoni lil dawk li jippreskrivu l-mediċina u lill-pazjenti dwar is-sigurtà tal-mediċina, u se tfakkar lil dawk li jippreskrivu l-mediċina u lill-ispizjara biex jivverifikaw jekk hemmx bżonn ta' xi tilqima oħra għall-pazjenti li jkunu qed jieħdu Soliris. Il-pazjenti se jingħataw ukoll kard li tispjega s-sintomi ta' ċerti tipi ta' infezzjoni, li twissi lill-pazjenti biex ifittxu għajjnuna medika minnufih jekk jesperjenzawhom.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inkluzi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Soliris.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-data dwar l-użu ta' Soliris hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrapportati b'Soliris huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tiproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Soliris

Soliris ingħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-UE kollha fl-20 ta' Ġunju 2007.

Aktar informazzjoni dwar Soliris tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'07-2023.