



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Piasky (*crovalimab*)

Een overzicht van Piasky en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Piasky en wanneer wordt het voorgeschreven?

Piasky is een geneesmiddel voor de behandeling van volwassenen en kinderen ouder dan 12 jaar die 40 kg of meer wegen en die lijden aan paroxysmale nachtelijke hemoglobinurie (PNH).

PNH is een ziekte waarbij de overmatige afbraak van bloedcellen leidt tot anemie (laag gehalte aan hemoglobine, het eiwit in rode bloedcellen dat zuurstof door het lichaam transporteert), trombose (bloedstolsels in bloedvaten), pancytopenie (laag aantal bloedcellen) en donkere urine (door de afgifte van grote hoeveelheden hemoglobine).

Piasky wordt gebruikt bij patiënten met hemolyse en symptomen van een hoge ziekteactiviteit en bij patiënten die stabiel zijn gebleven bij een behandeling met een C5-remmer (een ander geneesmiddel voor de behandeling van PNH) gedurende ten minste zes maanden.

Piasky bevat de werkzame stof crovalimab.

Hoe wordt Piasky gebruikt?

Het geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met bloedgerelateerde aandoeningen.

De eerste dosis Piasky wordt toegediend als infusie (indruppeling) in een ader. Daarna wordt het geneesmiddel gedurende de eerste vier weken eenmaal per week als injectie onder de huid toegediend en daarna om de vier weken. Na de juiste training te hebben gekregen, kunnen patiënten het geneesmiddel thuis injecteren zonder medisch toezicht.

Piasky is bedoeld voor langdurig gebruik, tenzij zich ernstige bijwerkingen voordoen.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Piasky.



Hoe werkt Piasky?

De werkzame stof in Piasky, crovalimab, is een monoklonaal antilichaam (een bepaald eiwit) dat is ontwikkeld om zich te hechten aan het complementeiwit C5, dat deel uitmaakt van het afweersysteem van het lichaam dat het 'complementsysteem' wordt genoemd.

Bij patiënten met PNH zijn de complementeiwitten overactief en beschadigen ze de eigen cellen van de patiënt. Door C5 te blokkeren voorkomt crovalimab dat complementaire eiwitten cellen – met name rode bloedcellen – beschadigen, waardoor de symptomen van de ziekte worden verlicht.

Welke voordelen bleek Piasky tijdens de studies te hebben?

In een hoofdstudie onder 204 volwassen patiënten met PNH die niet eerder met een complementremmer werden behandeld, was Piasky even werkzaam als eculizumab (een ander geneesmiddel voor PNH) bij het beheersen van hemolyse en het verminderen van de behoefte aan bloedtransfusies.

Na 24 weken behandeling kon ongeveer 79 % van de patiënten die Piasky kregen, hemolyse onder controle krijgen, gemeten aan de hand van de bloedconcentratie van het enzym lactaatdehydrogenase (LDH), wat de afbraak van rode bloedcellen weerspiegelt; bij patiënten die eculizumab kregen, was dit ook ongeveer 79 %. Bovendien had 66 % van de patiënten (88 van de 134) die Piasky kregen en 68 % (47 van de 69) van de patiënten die eculizumab kregen, geen bloedtransfusie nodig om de concentratie van hun rode bloedcellen te verhogen.

Deze resultaten werden ook waargenomen bij een kleine groep van zes kinderen met PNH die Piasky kregen.

Welke risico's houdt het gebruik van Piasky in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Piasky.

De meest voorkomende bijwerkingen (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn onder meer immuuncomplexe gemedieerde reacties van type III (een abnormale immuunreactie waarbij antilichamen zich aan het geneesmiddel hechten en clusters vormen die zich in lichaamsweefsels verzamelen, met symptomen zoals koorts, gewrichtspijn, jeuk en huiduitslag) bij patiënten die zijn overgestapt van behandeling met een andere C5-remmer op Piasky, infectie van de bovenste luchtwegen (neus en keel), koorts, hoofdpijn en infusiegerelateerde reacties.

De ernstigste bijwerkingen (die bij maximaal 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn een immuuncomplexe gemedieerde reactie van type III bij patiënten die van behandeling met een andere C5-remmer zijn overgeschakeld op Piasky en pneumonie (longinfectie).

Op basis van de manier waarop Piasky werkt, kan het risico op infecties, waaronder meningokokkensepsis, toenemen. Piasky mag niet worden toegediend aan mensen met een infectie veroorzaakt door *Neisseria meningitidis*; het mag evenmin worden toegediend aan patiënten die niet tegen deze bacterie zijn gevaccineerd, tenzij zij de vaccinatie hebben gepland en passende antibiotica hebben gebruikt om het risico op infectie te verkleinen tot de vaccinatie en gedurende twee weken daarna.

Waarom is Piasky geregistreerd in de EU?

Mensen met PNH hebben een levenslange behandeling nodig voor hun symptomen. Piasky biedt een aanvullende behandelingsoptie die na de eerste vier weken van de behandeling slechts om de vier

weken hoeft te worden ingenomen en thuis kan worden geïnjecteerd. De voordelen van Piasky bleken vergelijkbaar te zijn met die van een andere C5-remmer wat betreft het beheersen van hemolyse en het verminderen van de behoefte aan bloedtransfusies. Het veiligheidsprofiel van het middel wordt beheersbaar geacht gezien de getroffen maatregelen om de risico's tot een minimum te beperken. Bij patiënten die van andere C5-remmers naar Piasky overschakelen, zijn immuuncomplexreacties van type III een verwacht risico waarmee rekening moet worden gehouden. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Piasky groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Piasky te waarborgen?

Het bedrijf dat Piasky in de handel brengt, zal ervoor zorgen dat het geneesmiddel pas wordt voorgeschreven nadat is nagegaan of de patiënt gevaccineerd is tegen *N. meningitides* en zal voorschrijvers en apothekers er nogmaals op wijzen dat zij moeten controleren of verdere vaccinatie nodig is voor patiënten die Piasky gebruiken. Het bedrijf zal artsen en patiënten ook voorlichtingsmateriaal verstrekken over het risico op infecties veroorzaakt door meningokokkenbacteriën, de noodzaak van vaccinatie en het risico op ernstige hemolyse na stopzetting van de behandeling. Bovendien krijgen patiënten een kaart die ze altijd bij zich moeten dragen met informatie over de belangrijkste tekenen en symptomen van meningokokkeninfecties en ernstige allergische reacties, en instructies over wanneer zij medische spoedhulp moeten zoeken.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Piasky zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Piasky continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Piasky worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Piasky

Meer informatie over Piasky is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/piasky.