



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Epysqli (*ekulizumab*)

Przegląd wiedzy na temat leku Epysqli i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Epysqli i w jakim celu się go stosuje

Epysqli jest lekiem stosowanym w leczeniu osób dorosłych i dzieci z napadową nocną hemoglobinurią (PNH, ang. *paroxysmal nocturnal haemoglobinuria*) – chorobą, w której nadmierny rozpad krwinek czerwonych powoduje różne powikłania medyczne, w tym niedokrwistość (niski poziom krwinek czerwonych).

Lek Epysqli jest lekiem biopodobnym. Oznacza to, że lek Epysqli jest bardzo podobny do innego leku biologicznego (zwanego także lekiem referencyjnym), który jest już dopuszczony do obrotu w Unii Europejskiej (UE). Lekiem referencyjnym dla leku Epysqli jest Soliris. Dodatkowe informacje na temat leków biopodobnych znajdują się w dokumencie z pytaniami i odpowiedziami [tutaj](#).

Substancją czynną zawartą w leku Epysqli jest ekulizumab.

Jak stosować lek Epysqli

Lek wydawany na receptę. Lek Epysqli musi być podawany przez personel medyczny i pod nadzorem lekarza mającego doświadczenie w leczeniu zaburzeń hematologicznych.

Lek Epysqli podaje się we wlewie dożylnym (kroplówce) trwającym 25–45 minut (dorośli) lub 1 godzinę do 4 godzin (dzieci) raz w tygodniu przez pierwsze 2 do 5 tygodni, a następnie co 2 tygodnie. Pacjenci są monitorowani pod kątem wszelkich reakcji podczas wlewu dożylnego oraz przez co najmniej 1 godzinę po jego zakończeniu.

Pacjenci, u których podczas pierwszych wlewów nie wystąpiły poważne działania niepożądane, mogą mieć swoje wlewy podawane w domu przez personel medyczny. Lek Epysqli należy podawać przez całe życie, chyba że u pacjenta wystąpią poważne działania niepożądane.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Epysqli znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

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



Jak działa lek Epysqli

Układ dopełniacza jest zespołem białek, który jest częścią układu odpornościowego (naturalny system obronny organizmu). U pacjentów z PNH układ dopełniacza jest nadaktywny i niszczy własne krwinki pacjentów.

Substancja czynna leku Epysqli, ekulizumab, jest przeciwciałem (rodzajem białka) przeznaczonym do przyłączania się do białka C5 w układzie dopełniacza. Blokując C5, ekulizumab zapobiega uszkodzeniu komórek przez układ dopełniacza, pomagając w ten sposób złagodzić objawy choroby.

Korzyści ze stosowania leku Epysqli wykazane w badaniach

Badania laboratoryjne porównujące lek Epysqli z lekiem Soliris wykazały, że substancja czynna leku Epysqli jest bardzo podobna do substancji czynnej leku Soliris pod względem struktury, czystości i aktywności biologicznej. W badaniach wykazano również, że po zastosowaniu leku Epysqli poziom substancji czynnej w organizmie jest podobny, jak po zastosowaniu leku Soliris.

Ponadto w badaniu z udziałem 50 pacjentów z PNH porównywano stężenie enzymu – dehydrogenazy mleczanowej (LDH) – we krwi po terapii z zastosowaniem leku Epysqli i terapii z zastosowaniem leku Soliris. Niższy poziom LDH oznacza zmniejszenie rozpadu krwinek czerwonych. W badaniu stwierdzono, że po 6 miesiącach leczenia średnie stężenie LDH w przypadku leku Epysqli było zbliżone do wartości obserwowanych w przypadku leku Soliris (około 284 jednostek na litr w przypadku leku Epysqli w porównaniu z 250 jednostkami na litr w przypadku leku Soliris).

Z uwagi na to, że Epysqli jest lekiem biopodobnym, nie ma potrzeby powtarzać w odniesieniu do leku Epysqli wszystkich badań skuteczności i bezpieczeństwa ekulizumabu przeprowadzonych dla leku Soliris.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Epysqli

Dokonano oceny bezpieczeństwa leku Epysqli i na podstawie wszystkich przeprowadzonych badań działania niepożądane związane ze stosowaniem leku uznano za porównywalne z działaniami niepożądanymi związanymi ze stosowaniem leku referencyjnego Soliris.

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Epysqli znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działanie niepożądane związane ze stosowaniem leku Epysqli mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to ból głowy, a najpoważniejsze działanie niepożądane to posocznica meningokokowa (gdy bakteria zakaża krew, powodując krwawienie skóry i narządów).

Z powodu zwiększonego ryzyka wystąpienia posocznicy meningokokowej leku Epysqli nie wolno podawać osobom z zakażeniem wywołanym przez *Neisseria meningitides*. Leku nie wolno również podawać pacjentom, którzy nie zostali zaszczepieni przeciwko tej bakterii, chyba że otrzymają szczepienie i będą przyjmować odpowiednie antybiotyki w celu ograniczenia ryzyka zakażenia przez dwa tygodnie po szczepieniu.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Epysqli w UE

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że zgodnie z wymogami UE dotyczącymi leków biopodobnych lek Epysqli jest wysoce porównywalny pod względem struktury, czystości i aktywności biologicznej do leku Soliris i jest rozprowadzany w organizmie w taki sam sposób. Ponadto badania u pacjentów z PNH

wykazały, że bezpieczeństwo i skuteczność leku Epysqli są równoważne z bezpieczeństwem i skutecznością leku Soliris w PNH.

Uznano więc wszystkie wyżej wymienione dane za wystarczające do stwierdzenia, że lek Epysqli pod względem skuteczności i bezpieczeństwa będzie zachowywał się w taki sam sposób, jak lek Soliris w zatwierdzonym wskazaniu w PNH. Dlatego też Agencja wyraziła opinię, że – podobnie jak w przypadku leku Soliris – korzyści ze stosowania leku Epysqli przewyższają rozpoznane ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Epysqli

Firma, która wprowadza lek Epysqli do obrotu, dopilnuje, aby lek był wydawany dopiero po sprawdzeniu, czy pacjent został odpowiednio zaszczepiony. Firma przekaze także lekarzom przepisującym lek oraz pacjentom informacje na temat bezpieczeństwa leku oraz wystosuje przypomnienia do lekarzy przepisujących lub farmaceutów, aby sprawdzili status zaszczepienia pacjentów.

Firma dostarczy lekarzom przepisującym lek oraz pacjentom przewodnik dotyczący bezpieczeństwa stosowania leku. Pacjenci otrzymają także kartę dotyczącą bezpieczeństwa stosowania objaśniającą objawy niektórych rodzajów zakażeń, informującą o konieczności niezwłocznej konsultacji medycznej w przypadku ich wystąpienia.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Epysqli w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane na temat stosowania leku Epysqli są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Epysqli są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Epysqli

Dalsze informacje dotyczące leku Epysqli znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/epysqli.