



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Piasky (*krowalimab*)

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

Czym jest lek Piasky i w jakim celu się go stosuje

Piasky jest lekiem stosowanym w leczeniu osób dorosłych i dzieci w wieku 12 lat i starszych o masie ciała co najmniej 40 kg, u których występuje napadowa nocna hemoglobinuria (ang. *paroxysmal nocturnal haemoglobinuria*, PNH).

PNH jest chorobą, w której nadmierna hemoliza (rozkład czerwonych krwinek) powoduje niedokrwistość (niski poziom hemoglobiny – białka w czerwonych krwinkach, które przenosi tlen w organizmie), zakrzepicę (zakrzepy krwi w naczyniach krwionośnych), pancytopenię (niski poziom krwinek) i ciemne zabarwienie moczu (z powodu dużych ilości hemoglobiny uwalnianej do moczu).

Lek Piasky stosuje się u pacjentów z hemolizą i objawami dużej aktywności choroby oraz u pacjentów, którzy są stabilni po leczeniu inhibitorem C5 (innym lekiem stosowanym w leczeniu PNH) przez co najmniej 6 miesięcy.

Substancją czynną zawartą w leku Piasky jest krowalimab.

Jak stosować lek Piasky

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpocząć lekarz mający doświadczenie w leczeniu pacjentów z zaburzeniami krwi.

Pierwszą dawkę leku Piasky podaje się w postaci wlewu dożylnego (kroplówki). Następnie lek podaje się we wstrzyknięciu podskórnym raz w tygodniu przez pierwsze 4 tygodnie, a następnie co cztery tygodnie. Po odpowiednim przeszkoleniu pacjenci mogą sami wykonywać wstrzyknięcia leku w domu bez nadzoru medycznego.

Lek Piasky jest przeznaczony do długotrwałego stosowania, o ile u pacjenta nie wystąpią poważne działania niepożądane.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Piasky 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



© European Medicines Agency, 2024. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Jak działa lek Piasky

Substancję czynną leku Piasky, krowalimab, jest ciałem monoklonalnym (rodzajem białka) opracowanym w taki sposób, aby wiązało się z białkiem C5 dopełniacza stanowiącym część układu odpornościowego organizmu, określanego jako „układ dopełniacza”.

U pacjentów z PNH białka dopełniacza są nadmiernie aktywne i powodują uszkodzenie własnych komórek pacjenta. Blokując C5, krowalimab zapobiega uszkodzaniu komórek przez białka uzupełniające, zwłaszcza czerwonych krwinek, przyczyniając się w ten sposób do łagodzenia objawów choroby.

Korzyści ze stosowania leku Piasky wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem 204 dorosłych pacjentów z PNH, którzy nie byli wcześniej leczeni inhibitorem dopełniacza, lek Piasky był tak samo skuteczny jak ekulizumab (inny lek stosowany w leczeniu PNH) w kontrolowaniu hemolizy i zmniejszeniu konieczności transfuzji krwi.

Po 24 tygodniach leczenia u około 79% pacjentów, którym podawano lek Piasky, udało się uzyskać kontrolę hemolizy, co mierzono za pomocą stężenia enzymu dehydrogenazy mleczanowej (ang. *lactate dehydrogenase*, LDH) we krwi, które odzwierciedla rozpad krwinek czerwonych; u pacjentów przyjmujących ekulizumab było to także około 79%. Ponadto transfuzja krwi nie była konieczna u 66% (88 ze 134) pacjentów, którym podawano lek Piasky, i u 68% (47 z 69) pacjentów, którym podawano ekulizumab, w celu zwiększenia stężenia czerwonych krwinek.

Wyniki te zaobserwowano również w małej grupie 6 dzieci z PNH, którym podawano lek Piasky.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Piasky

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

Najczęstsze działania niepożądane (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) obejmują reakcje z udziałem kompleksów immunologicznych typu III (nieprawidłowa reakcja immunologiczna, w której przeciwciała przyłączają się do leku i tworzą skupiska gromadzące się w tkankach ciała, wywołujące objawy obejmujące gorączkę, ból stawów, świąd i wysypkę) u pacjentów, u których zmieniono leczenie z innego inhibitora C5 na lek Piasky, zakażenia górnych dróg oddechowych (nosa i gardło), gorączka, ból głowy i reakcje związane z wlewem.

Najpoważniejsze działania niepożądane (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) obejmują reakcję z udziałem kompleksów immunologicznych typu III u pacjentów, u których zmieniono leczenie z innego inhibitora C5 na lek Piasky i zapalenie płuc (zakażenie płuc).

W zależności od działania leku Piasky, może on zwiększać ryzyko wystąpienia zakażeń, w tym zakażenia meningokokowego. Leku Piasky 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 zaplanowali szczepienie i przyjmowali odpowiednie antybiotyki w celu zmniejszenia ryzyka zakażenia do czasu szczepienia i przez dwa tygodnie po nim.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Piasky w UE

Osoby z PNH potrzebują leczenia przez całe życie ze względu na swoje objawy. Lek Piasky oferuje dodatkową opcję leczenia, która po pierwszych 4 tygodniach leczenia wymaga przyjmowania tylko raz na 4 tygodnie i można ją samodzielnie wstrzykiwać w domu. Wykazano, że korzyści płynące ze stosowania leku Piasky są porównywalne z korzyściami ze stosowania innych inhibitorów C5 pod

względem kontrolowania hemolizy i zmniejszania konieczności transfuzji krwi. Profil bezpieczeństwa leku uznaje się za możliwy do kontrolowania, biorąc pod uwagę stosowane środki mające na celu zminimalizowanie ryzyka. U pacjentów, którzy zmieniają leczenie na lek Piasky z innych inhibitorów C5, reakcje z udziałem kompleksów immunologicznych typu III są spodziewanym ryzykiem, które należy wziąć pod uwagę. Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści ze stosowania leku Piasky przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Piasky

Firma, która wprowadza lek Piasky do obrotu dopilnuje, aby przepisanie leku miało miejsce wyłącznie po sprawdzeniu, czy pacjent został zaszczepiony przeciwko *N. meningitides*, i prześle lekarzom przepisującym lek i farmaceutom przypomnienie o konieczności sprawdzenia, czy niezbędne są dalsze szczepienia dla pacjentów przyjmujących lek Piasky. Firma dostarczy również lekarzom i pacjentom materiały edukacyjne na temat ryzyka zakażeń powodowanych przez bakterie meningokokowe, konieczności szczepienia się i ryzyka wystąpienia ciężkiej hemolizy po zakończeniu leczenia. Ponadto pacjenci otrzymają kartę, którą zawsze powinni nosić przy sobie, zawierającą informacje na temat kluczowych objawów przedmiotowych i podmiotowych zakażenia meningokokami oraz ciężkich reakcji alergicznych, a także instrukcje dotyczące tego, kiedy należy zgłosić się do lekarza w nagłych wypadkach.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Piasky 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 o stosowaniu leku Piasky są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Piasky są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Piasky

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