



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Epysqli (*ekulizumab*)

Prehľad o lieku Epysqli a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Epysqli a na čo sa používa?

Liek Epysqli sa používa na liečbu dospelých a detí s paroxyzmálnou nočnou hemoglobínúriou (PNH), čo je choroba, pri ktorej nadmerný rozpad červených krviniek vedie k rôznym zdravotným komplikáciám vrátane anémie (nízkej hladiny červených krviniek).

Liek Epysqli je tzv. biologicky podobný liek. To znamená, že liek Epysqli je veľmi podobný inému biologickému lieku (tzv. referenčnému lieku), ktorý je už v EÚ povolený. Referenčným liekom pre liek Epysqli je liek Soliris. Viac informácií o biologicky podobných liekoch sa nachádza [tu](#).

Liek Epysqli obsahuje liečivo ekulizumab.

Ako sa liek Epysqli užíva?

Výdaj lieku Epysqli je viazaný na lekársky predpis a liek musí podávať poskytovateľ zdravotnej starostlivosti pod dohľadom odborného lekára na krvné choroby.

Liek Epysqli sa podáva formou infúzie (na kvapkanie) do žily v trvaní 25 až 45 minút (dospelí) alebo 1 až 4 hodiny (deti) každý týždeň počas prvých 2 až 5 týždňov a potom každé 2 týždne. Pacienti sú monitorovaní počas infúzie a najmenej jednu hodinu po podaní infúzie, či sa u nich nevyskytnú reakcie.

Pacientom, u ktorých sa nevyskytnú žiadne závažné vedľajšie účinky pri prvých infúziách, môže infúzie podávať poskytovateľ zdravotnej starostlivosti v domácom prostredí. Liek Epysqli sa má podávať počas celého života, pokiaľ sa u pacienta nevyskytnú závažné vedľajšie účinky.

Viac informácií o používaní lieku Epysqli si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Epysqli účinkuje?

Komplementový systém je súbor proteínov, ktoré sú súčasťou imunitného systému (prirodzenej obrany tela). U pacientov s paroxyzmálnou nočnou hemoglobínúriou je komplementový systém nadmerne aktívny a poškodzuje vlastné krvinky pacientov.

Official address Domenico Scarlatti laan 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



Liečivo lieku Epysqli, ekulizumab, je protilátka (druh proteínu) vytvorená tak, aby sa naviazala na proteín C5 komplementového systému. Ekulizumab bráni komplementovému systému v poškodzovaní buniek tak, že zablokuje C5, čo pomáha zmierniť príznaky ochorenia.

Aké prínosy lieku Epysqli boli preukázané v štúdiách?

V laboratórnych štúdiách, v ktorých sa porovnával liek Epysqli s liekom Soliris, sa preukázalo, že liečivo lieku Epysqli je veľmi podobné liečivu lieku Soliris, pokiaľ ide o štruktúru, čistotu a biologický účinok. V štúdiách sa tiež preukázalo, že pri podávaní lieku Epysqli sa vytvára v tele podobná hladina liečiva ako pri podávaní lieku Soliris.

Okrem toho sa v štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 50 pacientov s paroxyzmálnou nočnou hemoglobínúriou, porovnávala hladina enzýmu laktátdehydrogenázy (LDH) v krvi po liečbe liekom Epysqli a po liečbe liekom Soliris. Nižšie hladiny enzýmu laktátdehydrogenázy znamenajú, že sa zníži rozklad červených krviniek. V štúdii sa zistilo, že po 6 mesiacoch liečby boli priemerné hladiny LDH v prípade lieku Epysqli podobné ako v prípade lieku Soliris (približne 284 jednotiek na liter v prípade lieku Epysqli v porovnaní s 250 jednotkami na liter v prípade lieku Soliris).

Keďže liek Epysqli je biologicky podobný liek, nie všetky štúdie účinnosti a bezpečnosti ekulizumabu uskutočnené s liekom Soliris sa musia opakovať pre liek Epysqli.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Epysqli?

Bezpečnosť lieku Epysqli sa vyhodnotila a na základe všetkých vykonaných štúdií sa vedľajšie účinky lieku považujú za porovnateľné s účinkami referenčného lieku Soliris.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Epysqli a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejší vedľajší účinok lieku Epysqli (ktorý môže postihnúť viac ako 1 osobu z 10) je bolesť hlavy a najzávažnejší vedľajší účinok je meningokoková sepsa (keď baktérie infikujú krvný obeh, čo spôsobuje krvácanie kože a orgánov).

Vzhľadom na zvýšené riziko vzniku meningokokovej sepsy sa liek Epysqli nesmie podávať osobám s prebiehajúcou infekciou spôsobenou *Neisseria meningitidis*. Nesmie sa podávať ani pacientom, ktorí v súčasnosti nie sú očkovaní proti tejto baktérii, pokiaľ nemajú očkovanie a počas dvoch týždňov po jej podaní neužívajú vhodné antibiotiká na zníženie rizika infekcie.

Prečo bol liek Epysqli povolený v EÚ?

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že v súlade s požiadavkami EÚ pre biologicky podobné lieky sa v prípade lieku Epysqli preukázala veľmi podobná štruktúra, čistota a biologický účinok ako pri lieku Soliris a že sa v tele distribuuje rovnakým spôsobom. Okrem toho sa na základe štúdie u pacientov s paroxyzmálnou nočnou hemoglobínúriou ukázalo, že bezpečnosť a účinnosť lieku Epysqli je v prípade paroxyzmálnej nočnej hemoglobínúrie rovnaká ako v prípade lieku Soliris.

Všetky tieto údaje sa považovali za dostatočné na vyvodenie záveru, že liek Epysqli sa bude správať rovnakým spôsobom ako liek Soliris, pokiaľ ide o účinnosť a bezpečnosť pri schválenom používaní v prípade paroxyzmálnej nočnej hemoglobínúrie. Agentúra preto usúdila, že tak, ako v prípade lieku Soliris, prínos lieku Epysqli je väčší ako identifikované riziká a že môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Epysqli?

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Epysqli na trh, zabezpečí, aby sa distribúcia lieku uskutočnila až po overení náležitého zaočkovania pacienta. Spoločnosť tiež poskytne predpisujúcim lekárom a pacientom informácie o bezpečnosti lieku a predpisujúcim lekárom alebo lekárnikom pripomenie, aby skontrolovali stav očkovania pacientov.

Spoločnosť poskytne predpisujúcim lekárom a pacientom príručku o bezpečnosti lieku. Pacienti dostanú aj tzv. bezpečnostnú kartu, v ktorej sú vysvetlené príznaky určitých druhov infekcie, s pokynom, aby pacienti okamžite vyhľadali lekársku pomoc, ak sa u nich vyskytnú.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Epysqli boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Epysqli sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Epysqli sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Epysqli

Ďalšie informácie o lieku Epysqli sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/epysqli.