



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Piasky (*krovalimab*)

Prehľad o lieku Piasky a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Piasky a na čo sa používa?

Piasky je liek na liečbu dospelých a detí starších ako 12 rokov s hmotnosťou 40 kg alebo viac, ktoré majú paroxyzmálnu nočnú hemoglobínúriu (PNH).

Paroxyzmálna nočná hemoglobínúria je ochorenie, pri ktorom nadmerná hemolýza (rozpad červených krviniek) vedie k anémii (nízkej hladine hemoglobínu, proteínu v červených krvinkách, ktorý prenáša kyslík v tele), trombóze (krvným zrazeninám v krvných cievach), pancytopénii (nízkej hladine krviniek) a tmavému moču (v dôsledku veľkého množstva hemoglobínu uvoľneného do moču).

Liek Piasky sa používa u pacientov s hemolýzou a príznakmi vysokej aktivity ochorenia a u pacientov, ktorí boli stabilní pri liečbe inhibítorom C5 (ďalším liekom, ktorý sa používa na liečbu PNH) najmenej 6 mesiacov.

Liek Piasky obsahuje liečivo krovalimab.

Ako sa liek Piasky používa?

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s poruchami súvisiacimi s krvou.

Prvá dávka lieku Piasky sa podáva vo forme infúzie (na kvapkanie) do žily. Potom sa liek podáva formou injekcie pod kožu raz týždenne počas prvých štyroch týždňov a následne raz za štyri týždne. Po primeranom zaškolení si pacienti môžu liek vpichovať v domácom prostredí bez lekárskeho dohľadu.

Liek Piasky je určený na dlhodobé používanie, pokiaľ sa u pacienta nevyskytnú závažné vedľajšie účinky.

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

Akým spôsobom liek Piasky účinkuje?

Liečivo lieku Piasky, krovalimab, je monoklonálna protilátka (druh proteínu), ktorá bola navrhnutá tak, aby sa naviazala na proteín komplementu C5, ktorý je súčasťou obranného systému tela, nazývaného komplementový systém.

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



U pacientov s paroxyzmálnou nočnou hemoglobínúriou sú proteíny komplementu nadmerne aktívne a poškadzujú vlastné bunky pacienta. Blokovanie C5 krovalimabom zabráňuje komplementovým proteínom poškodzovať bunky, najmä červené krvinky, čím pomáha zmierniť príznaky choroby.

Aké prínosy lieku Piasky boli preukázané v štúdiách?

V hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 204 dospelých pacientov s PNH, ktorí v minulosti neboli liečení inhibítorom komplementu, bol liek Piasky pri kontrole hemolýzy a znížení potreby krvných transfúzií rovnako účinný ako ekulizumab (ďalší liek na PNH).

Po 24 týždňoch liečby dokázalo približne 79 % pacientov liečených liekom Piasky dosiahnuť kontrolu hemolýzy, čo sa meralo hladinou enzýmu laktátdehydrogenázy (LDH) v krvi, ktorá odzrkadľuje rozpad červených krviniek. U pacientov, ktorí dostávali ekulizumab, to bolo tiež približne 79 %. Okrem toho, 66 % (88 zo 134) pacientov, ktorým bol podávaný liek Piasky, a 68 % (47 zo 69) pacientov, ktorým bol podávaný ekulizumab, nepotrebovali krvnú transfúziu na zvýšenie hladiny červených krviniek.

Tieto výsledky sa pozorovali aj v malej skupine 6 detí s PNH, ktoré dostávali liek Piasky.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Piasky?

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

Najčastejšie vedľajšie účinky (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú reakcie III. typu sprostredkované imunokomplexmi (abnormálna imunitná reakcia, pri ktorej sa protilátky viažu na liek a vytvárajú klastre, ktoré sa zhromažďujú v tkanivách tela a spôsobujú príznaky, ktoré zahŕňajú horúčku, bolesť kĺbov, svrbenie a vyrážku) u pacientov, ktorí prešli z liečby iným inhibítorom C5 na liečbu liekom Piasky, infekcia horných dýchacích ciest (nosu a hrdla), horúčka, bolesť hlavy a reakcie spojené s infúziou.

Medzi najzávažnejšie vedľajšie účinky (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) patrí reakcia III. typu sprostredkované imunokomplexmi u pacientov, ktorí prešli z liečby iným inhibítorom C5 na liek Piasky a pneumónia (infekcia pľúc).

Na základe spôsobu, akým liek Piasky účinkuje, môže zvýšiť riziko infekcií vrátane meningokokovej sepsy. Liek Piasky sa nesmie podávať osobám, ktoré majú infekciu spôsobenú baktériou *Neisseria meningitidis*. Nesmie sa podávať ani pacientom, ktorí neboli zaočkovaní proti tejto baktérii, pokiaľ neplánovali očkovanie a neužívali vhodné antibiotiká na zníženie rizika infekcie až do očkovania a počas dvoch týždňov po ňom.

Prečo bol liek Piasky povolený v EÚ?

Osoby s PNH potrebujú celoživotnú liečbu svojich príznakov. Liek Piasky poskytuje ďalšiu možnosť liečby, ktorá sa po prvých štyroch týždňoch liečby musí užívať len raz za štyri týždne a pacient si injekciu môže podávať sám doma. Preukázalo sa, že prínosy lieku Piasky sú porovnateľné s ďalším inhibítorom C5, pokiaľ ide o kontrolu hemolýzy a zníženie potreby krvných transfúzií. Bezpečnostný profil lieku sa považuje za zvláduteľný vzhľadom na zavedené opatrenia na minimalizovanie rizík. U pacientov, ktorí prechádzajú na liek Piasky z iných inhibítorov C5, sú imunokomplexové reakcie III. typu očakávaným rizikom, ktoré sa má vziať do úvahy. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Piasky sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek má byť povolený na používanie v EÚ.

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

Spoločnosť, ktorá liek Piasky uvádza na trh, zabezpečí, aby sa výdaj lieku uskutočnil len po overení toho, že pacient bol očkovaný proti baktérii *N. meningitides*, a pošle upozornenia predpisujúcim lekárom a lekárnikom, aby skontrolovali, či sa nevyžaduje ďalšie očkovanie pacientov používajúcich liek Piasky. Spoločnosť tiež poskytne lekárom a pacientom vzdelávacie materiály o riziku infekcií zapríčinených meningokokovými baktériami, potrebe očkovania a riziku závažnej hemolýzy po ukončení liečby. Okrem toho pacienti dostanú kartu, ktorú majú vždy nosiť so sebou, s informáciami o kľúčových prejavoch a príznakoch meningokokových infekcií a závažných alergických reakcií a s pokynmi o tom, kedy vyhľadať okamžitú lekársku pomoc.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Piasky 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 Piasky sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Piasky sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Piasky

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