



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Epysqli (*ekulizumab*)

Pregled zdravila Epysqli in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Epysqli in za kaj se uporablja?

Epysqli je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje odraslih in otrok s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo (PNH), tj. boleznijo, pri kateri čezmerna razgradnja rdečih krvnih celic povzroči različne zdravstvene zaplete, vključno z anemijo (nizkimi ravnmi rdečih krvnih celic).

Zdravilo Epysqli je „podobno biološko zdravilo“. To pomeni, da je zelo podobno drugemu biološkemu zdravilu („referenčnemu zdravilu“), ki je že odobreno v EU. Referenčno zdravilo za zdravilo Epysqli je zdravilo Soliris. Za več informacij o podobnih bioloških zdravilih glejte dokument, ki je na voljo [tukaj](#).

Zdravilo Epysqli vsebuje učinkovino ekulizumab.

Kako se zdravilo Epysqli uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Epysqli je le na recept, daje pa ga lahko samo zdravstveni delavec pod nadzorom zdravnika, ki pozna krvne bolezni.

Zdravilo Epysqli se daje z infundiranjem (kapalno infuzijo) v veno, ki traja od 25 do 45 minut (odrasli) ali od ene do štirih ur (otroci) vsak teden prvih dva do pet tednov in nato vsaka dva tedna. Bolnike je treba med infuzijo in še najmanj eno uro po njej spremljati, da ni prišlo do pojava kakršnih koli reakcij.

Bolniki, ki ob prvem infundiranju niso imeli večjih neželenih učinkov, bodo morda lahko infuzijo prejeli doma s pomočjo zdravstvenega delavca. Zdravilo Epysqli se daje doživljenjsko, razen če se pri bolniku pojavijo resni neželeni učinki.

Za več informacij glede uporabe zdravila Epysqli glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Epysqli deluje?

Sistem komplementa je skupina beljakovin, ki so del imunskega sistema (naravnega obrambnega mehanizma telesa). Pri bolnikih s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo je sistem komplementa preveč dejaven in škoduje bolnikovim lastnim krvnim celicam.

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



Učinkovina v zdravilu Epysqli, ekulizumab, je protitelo (vrsta beljakovine), zasnovano tako, da se veže na beljakovino C5 sistema komplementa. Ekulizumab z zaviranjem beljakovine C5 preprečuje, da bi sistem komplementa poškodoval celice, s čimer pomaga ublažiti simptome bolezni.

Kakšne koristi zdravila Epysqli so se pokazale v študijah?

Laboratorijske študije, v katerih so zdravilo Epysqli primerjali z zdravilom Soliris, so pokazale, da je učinkovina v zdravilu Epysqli po zgradbi, čistosti in biološkem delovanju zelo podobna učinkovini v zdravilu Soliris. Študije so pokazale tudi, da zdravilo Epysqli ustvari podobne ravni učinkovine v telesu kot zdravilo Soliris.

Poleg tega so v študiji, v katero je bilo vključenih 50 bolnikov s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo, primerjali ravni laktat dehidrogenaze (LDH) v krvi po zdravljenju z zdravilom Epysqli in zdravljenju z zdravilom Soliris. Nižje ravni LDH pomenijo, da je razgradnja rdečih krvnih celic manjša. V študiji so ugotovili, da so bile po šestih mesecih zdravljenja povprečne ravni LDH pri zdravljenju z zdravilom Epysqli podobne ravnem, opaženim pri zdravljenju z zdravilom Soliris (približno 284 enot na liter pri zdravljenju z zdravilom Epysqli v primerjavi s 250 enotami na liter pri zdravljenju z zdravilom Soliris).

Zdravilo Epysqli je „podobno biološko zdravilo“, zato študij o učinkovitosti in varnosti ekulizumaba, izvedenih z zdravilom Soliris, z zdravilom Epysqli ni treba ponavljati.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Epysqli?

Varnost zdravila Epysqli je bila ocenjena, na podlagi vseh izvedenih študij pa so bili neželeni učinki zdravila ocenjeni kot primerljivi z neželenimi učinki referenčnega zdravila Soliris.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Epysqli glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinek zdravila Epysqli (ki se lahko pojavi pri več kot 1 od 10 bolnikov) je glavobol, najresnejši neželeni učinek pa je meningokokna sepsa (pri kateri bakterija okuži krvni obtok in povzroči krvavitev na koži in organih).

Zaradi povečanega tveganja za razvoj meningokokne sepse se zdravilo Epysqli ne sme dajati osebam, ki so okužene z bakterijo *Neisseria meningitides*. Prav tako se ne sme dajati bolnikom, ki trenutno niso cepljeni proti tej bakteriji, razen če se cepijo in še dva tedna po cepljenju jemljejo ustrezne antibiotike za zmanjšanje tveganja okužbe.

Zakaj je bilo zdravilo Epysqli odobreno v EU?

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da je bilo v skladu z zahtevami EU glede podobnih bioloških zdravil dokazano, da je zdravilo Epysqli po zgradbi, čistosti in biološkem delovanju primerljivo zdravilu Soliris in da se po telesu enako prenaša. Poleg tega je študija pri bolnikih s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo pokazala, da sta varnost in učinkovitost zdravila Epysqli enaki varnosti in učinkovitosti zdravila Soliris pri paroksizmalni nočni hemoglobinuriji.

Vsi ti podatki so bili ocenjeni kot zadostni za zaključek, da se bo zdravilo Epysqli pri odobreni uporabi pri paroksizmalni nočni hemoglobinuriji z vidika učinkovitosti in varnosti vedlo enako kot zdravilo Soliris. Zato je agencija menila, da koristi zdravila Epysqli enako kot pri zdravilu Soliris odtehtajo znana tveganja in da se zdravilo lahko odobri v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Epysqli?

Podjetje, ki trži zdravilo Epysqli, bo zagotovilo, da se lahko zdravilo izda šele potem, ko se preveri, ali je bil bolnik ustrezno cepljen. Zdravnikom, ki predpisujejo zdravilo, in bolnikom bo priskrbelo tudi informacije o varnosti zdravila, zdravnikom, ki predpisujejo zdravilo, ali farmacevtom pa bo poslalo opomnike, naj preverijo cepilni status bolnikov.

Podjetje bo zdravnikom, ki predpisujejo zdravilo, in bolnikom priskrbelo tudi navodila o varnosti zdravila. Bolniki bodo prejeli tudi posebno kartico, ki vsebuje razlago simptomov določenih vrst okužb, in navodilo, naj ob pojavu teh simptomov nemudoma poiščejo medicinsko pomoč.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Epysqli upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Epysqli stalno spremljajo. Neželjeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Epysqli, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Epysqli

Nadaljnje informacije za zdravilo Epysqli so na voljo na spletni strani agencije:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/epysqli.