



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Piasky (*krovalimab*)

Pregled zdravila Piasky in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Piasky in za kaj se uporablja?

Piasky je zdravilo za zdravljenje odraslih in otrok, starejših od 12 let, s telesno maso 40 kg ali več, ki imajo paroksizmalno nočno hemoglobinurijo (PNH).

Paroksizmalna nočna hemoglobinurija je bolezen, pri kateri čezmerna hemoliza (čezmerna razgradnja rdečih krvnih celic) povzroči anemijo (nizke ravni hemoglobina, tj. beljakovine v rdečih krvnih celicah, ki prenaša kisik po telesu), trombozo (krvne strdke v žilah), pancitopenijo (nizke ravni krvnih celic) in temen urin (zaradi velikih količin hemoglobina, ki se sprošča v urin).

Zdravilo Piasky se uporablja pri bolnikih, ki imajo hemolizo s kliničnimi simptomi, ki kažejo na visoko aktivnost bolezni, ter pri bolnikih, ki so bili po zdravljenju z zaviralcem C5 (drugim zdravilom za zdravljenje paroksizmalne nočne hemoglobinurije) vsaj šest mesecev klinično stabilni.

Zdravilo Piasky vsebuje učinkovino krovalimab.

Kako se zdravilo Piasky uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Piasky je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z boleznimi, ki so povezane s krvjo.

Prvi odmerek zdravila Piasky se daje z infundiranjem (kapalno infuzijo) v veno. Po tem se zdravilo daje v obliki injekcije v podkožje enkrat tedensko v prvih štirih tednih in nato enkrat na štiri tedne. Bolniki si lahko po ustreznem usposabljanju zdravilo injicirajo sami doma brez zdravniškega nadzora.

Zdravilo Piasky je namenjeno za dolgotrajno uporabo, razen če se pri bolniku pojavijo resni neželeni učinki.

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

Kako zdravilo Piasky deluje?

Učinkovina v zdravilu Piasky, krovalimab, je monoklonsko protitelo (vrsta beljakovine), ki je bilo zasnovano tako, da se veže na beljakovino komplementa C5, ki je del obrambnega sistema telesa, imenovanega „sistem komplementa“.

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



Pri bolnikih s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo so beljakovine komplementa preveč dejavne, kar poškoduje bolnikove lastne celice. Krovalimab z zaviranjem C5 preprečuje, da bi beljakovine komplementa poškodovale celice, zlasti rdeče krvne celice, s čimer pomaga ublažiti simptome bolezni.

Kakšne koristi zdravila Piasky so se pokazale v študijah?

V glavni študiji, v katero so bili vključeni 204 odrasli bolniki s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo, ki predhodno še niso bili zdravljeni z zaviralcem komplementa, je bilo zdravilo Piasky pri nadzoru hemolize in zmanjševanju potrebe po transfuzijah krvi enako učinkovito kot ekulizumab (drugo zdravilo za zdravljenje paroksizmalne nočne hemoglobinurije).

Po 24 tednih zdravljenja je bilo pri približno 79 % bolnikov, ki so prejeli zdravilo Piasky, vzpostavljen nadzor nad hemolizo, kot so ga izmerili na podlagi koncentracij laktat-dehidrogenaze (LDH) v krvi, ki odraža razgradnjo rdečih krvnih celic. Pri bolnikih, ki so prejeli ekulizumab, je ta delež prav tako znašal približno 79 %. Poleg tega 66 % (88 od 134) bolnikov, ki so prejeli zdravilo Piasky, in 68 % (47 od 69) bolnikov, ki so prejeli ekulizumab, ni potrebovalo transfuzije krvi za povečanje ravni rdečih krvnih celic.

Ti rezultati so bili opaženi tudi pri majhni skupini šestih otrok s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo, ki so prejeli Piasky.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Piasky?

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

Najpogostejši neželeni učinki (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) vključujejo preobčutljivostne reakcije tipa III zaradi nastajanja imunskih kompleksov (nenormalno imunska reakcija, pri kateri se protitelesa vežejo na zdravilo in tvorijo skupke, ki se kopičijo v telesnih tkivih, kar povzroča simptome, ki vključujejo povišano telesno temperaturo, bolečine v sklepih, srbenje in izpuščaj), pri bolnikih, ki so prešli z zdravljenja z drugim zaviralcem C5 na zdravilo Piasky, okužbo zgornjih dihal (nosu in grla), povišano telesno temperaturo, glavobol in reakcije, povezane z infundiranjem.

Najresnejši neželeni učinki (ki se lahko pojavijo pri največ 1 od 10 bolnikov) vključujejo preobčutljivostne reakcije tipa III zaradi nastajanja imunskih kompleksov pri bolnikih, ki so prešli z zdravljenja z drugim zaviralcem C5 na zdravilo Piasky, in pljučnico (okužbo pljuč).

Zaradi načina delovanja zdravila Piasky se lahko poveča tveganje za okužbe, vključno z meningokokno sepsa. Zdravilo Piasky se ne sme dajati osebam z neozdravljeno okužbo z bakterijo *Neisseria meningitidis*. Prav tako se ne sme dajati bolnikom, ki niso bili cepljeni proti tej bakteriji, razen če načrtujejo cepljenje in do cepljenja ter dva tedna po njem jemljejo ustrezne antibiotike za zmanjšanje tveganja okužbe.

Zakaj je bilo zdravilo Piasky odobreno v EU?

Bolniki s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo potrebujejo vseživljenjsko zdravljenje svojih simptomov. Zdravilo Piasky ponuja dodatno možnost zdravljenja, katerega prednost je, da se po prvih štirih tednih zdravljenja bolnikom daje samo enkrat vsake štiri tedne in si ga lahko bolniki injicirajo tudi sami doma. Izkazalo se je, da so koristi zdravila Piasky primerljive z drugim zaviralcem C5 v smislu vzpostavitve nadzora nad hemolizo in zmanjšanja potrebe po transfuziji krvi. Njegov varnostni profil se šteje za obvladljivega, če se izvajajo ukrepi za zmanjševanje tveganj. Pri bolnikih, ki preidejo na zdravilo Piasky z drugih zaviralcev C5, so reakcije tipa III zaradi nastajanja imunskih kompleksov

pričakovane, kar je treba ustrezno upoštevati. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Piasky večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

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

Podjetje, ki trži zdravilo Piasky, bo zagotovilo, da se recept za zdravilo izda šele potem, ko se preveri, ali je bil bolnik cepljen proti bakteriji *N. meningitides*, in poslalo opomnike zdravnikom, ki predpisujejo to zdravilo, in farmacevtom, da preverijo, ali je pri bolnikih, ki prejemaajo zdravilo Piasky, potrebno kakršno koli nadaljnje cepljenje. Prav tako bo zdravnikom in bolnikom zagotovilo izobraževalno gradivo o tveganju za okužbe z meningokoknimi bakterijami, potrebi po cepljenju in tveganju za nastop hude oblike hemolize zaradi prenehanja zdravljenja. Poleg tega bodo bolniki prejeli kartico, ki jo morajo vedno imeti s seboj, z informacijami o ključnih znakih in simptomih meningokoknih okužb in hudih alergijskih reakcij ter navodili, kdaj poiskati nujno zdravniško pomoč.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Piasky 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 Piasky stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Piasky, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Piasky

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

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