



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Epysqli (*ekulizumab*)

Sammanfattning av Epysqli och varför det är godkänt inom EU

Vad är Epysqli och vad används det för?

Epysqli är ett läkemedel som används för att behandla vuxna och barn med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH), en sjukdom där en onormalt stor nedbrytning av röda blodkroppar leder till olika medicinska komplikationer, däribland anemi (låga halter av röda blodkroppar).

Epysqli är en biosimilar (liknande biologiskt läkemedel), vilket innebär att Epysqli i hög grad liknar ett annat biologiskt läkemedel ("referensläkemedel") som redan är godkänt i EU. Referensläkemedlet för Epysqli är Soliris. Mer information om biosimilarer finns [här](#).

Epysqli innehåller den aktiva substansen ekulizumab.

Hur används Epysqli?

Epysqli är receptbelagt och ska ges av hälso- och sjukvårdspersonal under överinseende av en läkare som har erfarenhet av att behandla blodsjukdomar.

Epysqli ges som en infusion (dropp) i en ven under 25–45 minuter (hos vuxna) eller 1–4 timmar (hos barn) en gång i veckan under de första 2–5 veckorna och därefter varannan vecka. Patienterna ska övervakas avseende eventuella reaktioner under infusionen och i minst en timme därefter.

Patienter som inte får några allvarliga biverkningar vid de första infusionerna kan få efterföljande infusioner i hemmet av hälso- och sjukvårdspersonal. Epysqli ska ges hela livet, såvida inte patienten får allvarliga biverkningar.

För mer information om hur du använder Epysqli, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Epysqli?

Komplementsystemet är en uppsättning proteiner som ingår i kroppens immunförsvar. Hos patienter med PNH är komplementsystemet överaktivt och skadar patienternas egna blodkroppar.

Den aktiva substansen i Epysqli, ekulizumab, är en antikropp (en typ av protein) som utformats för att binda till C5-proteinet i komplementsystemet. Genom att blockera C5 hindrar ekulizumab komplementsystemet från att skada cellerna och bidrar på så sätt till att sjukdomssymtomen lindras.

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



Vilka fördelar med Epysqli har visats i studierna?

Laboratoriestudier där Epysqli jämfördes med Soliris har visat att den aktiva substansen i Epysqli är mycket lik den i Soliris vad gäller struktur, renhet och biologisk aktivitet. Studier har också visat att det vid behandling med Epysqli produceras liknande halter av den aktiva substansen i kroppen som vid behandling med Soliris.

I en studie på 50 patienter med PNH jämfördes dessutom nivåerna av enzymet laktatdehydrogenas (LDH) i blodet efter behandling med Epysqli respektive med Soliris. Lägre nivåer av LDH innebär att nedbrytningen av röda blodkroppar minskar. Studien visade att de genomsnittliga LDH-nivåerna efter 6 månaders behandling med Epysqli liknade dem som setts med Soliris efter samma behandlingstid (cirka 284 enheter per liter med Epysqli jämfört med 250 enheter per liter med Soliris).

Eftersom Epysqli är en biosimilar behöver inte studierna om ekulizumabs effekt och säkerhet som utförts med Soliris utföras på nytt med Epysqli.

Vilka är riskerna med Epysqli?

Epysqlis säkerhet har utvärderats och med de genomförda studierna som grund anses läkemedlets biverkningar vara jämförbara med dem som referensläkemedlet Soliris ger upphov till.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Epysqli finns i bipacksedeln.

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Epysqli (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är huvudvärk. Den allvarligaste biverkningen är meningokocksepsis (när en bakterie infekterar blodet och orsakar blödning i huden och organen).

På grund av den ökade risken för att utveckla meningokocksepsis får Epysqli inte ges till personer som har en pågående infektion orsakad av *Neisseria meningitides*. Det får heller inte ges till patienter som inte är vaccinerade mot denna bakterie, såvida de inte låter sig vaccineras mot den och tar ett lämpligt antibiotikum för att minska infektionsrisken under de två veckor som följer efter vaccinationen.

Varför är Epysqli godkänt i EU?

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att det styrkts att Epysqli i enlighet med EU:s krav för biosimilarer har en struktur, renhet och biologisk aktivitet som i hög grad liknar Soliris, och att de båda läkemedlen fördelas i kroppen på samma sätt. Dessutom har en studie på patienter med PNH visat att Epysqli är lika säkert och effektivt som Soliris vid behandling av PNH.

Alla dessa data ansågs räcka för att dra slutsatsen att Epysqli kommer att verka på samma sätt som Soliris vad gäller effekt och säkerhet vid dess godkända användning, behandling av PNH. EMA fann därför att fördelarna med Epysqli är större än de konstaterade riskerna, liksom för Soliris, och att Epysqli kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Epysqli?

Företaget som marknadsför Epysqli ska se till att läkemedlet endast tillhandahålls efter att det bekräftats att patienten har genomgått relevant vaccination. Företaget kommer också att förse förskrivande läkare och patienter med information om läkemedlets säkerhet och kommer att skicka påminnelser till förskrivande läkare eller apotekspersonal om att kontrollera patienternas vaccinationsstatus.

Företaget kommer att förse förskrivande läkare och patienter med en vägledning om läkemedlets säkerhet. Patienterna kommer också att få ett "säkerhetskort" som förklarar symtomen på vissa typer av infektioner och uppmanar patienterna att omedelbart söka läkarvård om de skulle uppleva dem.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Epysqli har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Epysqli kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Epysqli utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Epysqli

Mer information om Epysqli finns på EMA:s webbplats:

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