



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Piasky (*krovalimab*)

Sammanfattning av Piasky och varför det är godkänt inom EU

### Vad är Piasky och vad används det för?

Piasky är ett läkemedel för behandling av paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) hos vuxna och barn över 12 års ålder som väger 40 kg eller mer.

PNH är en sjukdom där en alltför stor nedbrytning av röda blodkroppar (hemolys) leder till anemi (låga nivåer av hemoglobin, det protein i de röda blodkropparna som transporterar runt syre i kroppen), trombos (blodproppar i blodkärlen), pancytopeni (låga nivåer av blodkroppar) och mörk urin (på grund av att stora mängder hemoglobin förs över i urinen).

Piasky ges till patienter med hemolys och symtom på hög sjukdomsaktivitet samt till patienter som har varit stabila under behandling med en C5-hämmare (ett annat läkemedel som används för att behandla PNH) i minst sex månader.

Piasky innehåller den aktiva substansen krovalimab.

### Hur används Piasky?

Läkemedlet är receptbelagt och behandling ska inledas av en läkare med erfarenhet av att behandla patienter med blodrelaterade sjukdomar.

Den första dosen av Piasky ges som en infusion (dropp) i en ven. Därefter ges läkemedlet som en injektion under huden en gång i veckan under de första fyra veckorna och därefter en gång var fjärde vecka. Efter att ha fått lämplig utbildning kan patienterna själva injicera läkemedlet hemma utan att genomgå någon medicinsk övervakning.

Piasky är avsett för långvarig användning såvida inte patienten får allvarliga biverkningar.

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

### Hur verkar Piasky?

Den aktiva substansen i Piasky, krovalimab, är en monoklonal antikropp (ett slags protein) som utformats för att binda till komplementproteinet C5 i "komplementsystemet", som är en del av kroppens immunförsvar.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Hos patienter med PNH är komplementproteinerna överaktiva och skadar patienternas egna celler. Genom att blockera C5 hindrar krovalimab komplementproteinerna från att skada cellerna, särskilt de röda blodkropparna, och hjälper på så sätt till att lindra symtomen på sjukdomen.

## Vilka fördelar med Piasky har visats i studierna?

I en huvudstudie på 204 vuxna patienter med PNH som inte tidigare behandlats med en komplementhämmare var Piasky lika effektivt som ekulizumab (ett annat läkemedel mot PNH) för att kontrollera hemolys och minska behovet av blodtransfusioner.

Efter 24 veckors behandling uppnåddes hemolyskontroll hos omkring 79 procent av de patienter som fick Piasky. Detta mättes utifrån nivån av enzymet laktatdehydrogenas (LDH) i blodet, som visar nedbrytning av röda blodkroppar. Hos de patienter som fick ekulizumab låg detta också på omkring 79 procent. Dessutom behövde 66 procent (88 av 134) av de patienter som fick Piasky och 68 procent (47 av 69) av de patienter som fick ekulizumab ingen blodtransfusion för att öka sin nivå av röda blodkroppar.

Dessa resultat sågs även hos en liten grupp med sex barn som hade PNH och som behandlades med Piasky.

## Vilka är riskerna med Piasky?

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

De vanligaste biverkningarna (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är immunkomplexmedierade reaktioner av typ III (en onormal immunreaktion där antikroppar binder till läkemedlet och bildar kluster som samlas i kroppsvävnaderna och orsakar symtom som feber, ledsmärta, klåda och hudutslag) hos patienter som har gått över till Piasky från behandling med en annan C5-hämmare, infektion i övre luftvägarna (näsa och hals), feber, huvudvärk och infusionsrelaterade reaktioner.

De allvarligaste biverkningarna (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är immunkomplexmedierade reaktioner av typ III, hos patienter som har gått över till Piasky från behandling med en annan C5-hämmare, och pneumoni (lunginfektion).

Baserat på hur Piasky fungerar kan det öka risken för infektioner, inklusive meningokocksepsis. Piasky får inte ges till personer som har en infektion orsakad av *Neisseria meningitidis*. Det får heller inte ges till patienter som inte är vaccinerade mot denna bakterie, såvida de inte har planerat in vaccinationen och tagit lämpliga antibiotika för att minska infektionsrisken fram till vaccinationen och under två veckor därefter.

## Varför är Piasky godkänt i EU?

Personer med PNH behöver livslång behandling för sina symtom. Piasky är ett ytterligare behandlingsalternativ, som efter de första fyra behandlingsveckorna endast behöver tas en gång var fjärde vecka. Läkemedlet kan dessutom injiceras av patienterna själva i hemmet. Piaskys fördelar visade sig vara jämförbara med en annan C5-hämmare för att kontrollera hemolys och minska behovet av blodtransfusioner. Dess säkerhetsprofil anses vara hanterbar med tanke på de åtgärder som vidtagits för att minimera riskerna. Hos patienter som byter till Piasky från andra C5-hämmare är immunkomplexmedierade reaktioner av typ III en förväntad risk som bör tas i beaktande. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Piasky är större än riskerna och att Piasky kan godkännas för försäljning i EU.

## Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Piasky?

Företaget som marknadsför Piasky kommer att vidta åtgärder för att säkerställa att läkemedlet endast skrivs ut efter att man har kontrollerat att patienten har vaccinerats mot *N. meningitides*. Det kommer att skicka en påminnelse till förskrivande läkare och apotekspersonal om att kontrollera om patienterna som tar Piasky behöver ytterligare vaccination. Företaget kommer också att förse läkare och patienter med utbildningsmaterial om risken för infektioner orsakade av meningokockbakterier, behovet av vaccination och risken för allvarlig hemolys efter avslutad behandling. Dessutom kommer patienterna att få ett kort som de alltid ska bära med sig med information om viktiga tecken och symtom på meningokockinfektioner och allvarliga allergiska reaktioner, samt instruktioner om när de ska söka akut medicinsk vård.

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

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

## Mer information om Piasky

Mer information om Piasky finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/piasky](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/piasky).