



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/305920/2023
EMA/H/C/000791

Soliris (*ekulizumab*)

Prehľad o lieku Soliris a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Soliris a na čo sa používa?

Soliris je liek na liečbu dospelých a detí s paroxyzmálnou nočnou hemoglobínúriou (PNH) a atypickým hemolyticko-uremickým syndrómom (aHUS).

Sú to život ohrozujúce zriedkavé genetické ochorenia, ktoré spôsobujú rozpad červených krviniek, čo vedie k rôznym zdravotným komplikáciám. V dôsledku paroxyzmálnej nočnej hemoglobínúrie vzniká anémia (nízky počet červených krviniek), trombóza (krvná zrazenina v cievach), pancytopénia (nízky počet krviniek) a tmavý moč, zatiaľ čo v dôsledku atypického hemolyticko-uremického syndrómu dochádza k anémii, trombocytopénii (poklesu počtu krvných doštičiek, čiže zložiek, ktoré pomáhajú pri zrážaní krvi) a zlyhaniu obličiek.

Liek Soliris sa používa na liečbu dospelých a detí vo veku 6 rokov a starších s ťažkou myasténiou (ďalšie zriedkavé ochorenie, pri ktorom imunitný systém napáda a poškodzuje svalové bunky, spôsobujúce svalovú slabosť), u ktorých nezaberajú iné lieky (refraktérna generalizovaná myasténia gravis (gMG)) a ktorí majú špecifickú protilátku nazývanú protilátka AChR.

Liek Soliris sa používa aj na liečbu dospelých s neuromyelitis optica a jej spektrom ochorení (NMOSD), čo je ochorenie spôsobujúce predovšetkým problémy s optickým (očným) nervom a miechou (bervové tkanivo, ktoré prechádza od základne lebky do stredu chrbta). Používa sa u pacientov, ktorí majú protilátky nazývané AQP4 a ktorých ochorenie relapsuje (t. j. ak má pacient ataky [relapsy] striedajúce sa s obdobiami bez príznakov).

Liek Soliris obsahuje liečivo ekulizumab.

Tieto ochorenia sú zriedkavé, a preto bol liek Soliris označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť na webovej stránke Európskej agentúry pre lieky ([PNH](#): 17. októbra 2003; [aHUS](#): 24. júla 2009; [myasthenia gravis](#): 29. júla 2014; [NMOSD](#): 24. apríla 2019).

Ako sa liek Soliris používa?

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a musí sa podávať pod dohľadom lekára, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s poruchami obličiek a poruchami ovplyvňujúcimi nervový systém alebo krv.

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



Liek Soliris sa podáva vo forme infúzie (na kvapkanie) do žily a odporúčaná dávka závisí od toho, na čo sa liek používa, a u pacientov mladších ako 18 rokov, od telesnej hmotnosti. Na začiatku liečby sa liek Soliris podáva každý týždeň a potom každé dva alebo tri týždne.

Pacienti sa počas infúzie a aspoň jednu hodinu po nej monitorujú, či sa u nich nevyskytnú akékoľvek reakcie. V prípade akýchkoľvek reakcií súvisiacich s infúziou môže lekár infúziu spomaliť alebo zastaviť.

U niektorých pacientov, u ktorých sa uskutočňuje výmena plazmy (odber krvnej plazmy, spracovanie a jej opätovné vrátenie) alebo infúzia plazmy, sa vyžadujú ďalšie dávky lieku Soliris.

Liek Soliris sa má podávať počas celého života pacienta, pokiaľ sa u neho nevyvinú závažné vedľajšie účinky. Liečba sa má ukončiť aj u pacientov s refraktérnou gMG, ktorí neodpovedajú na liek Soliris po 12 týždňoch.

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

Akým spôsobom liek Soliris účinkuje?

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

U pacientov s paroxyzmálnou nočnou hemoglobinúriou, atypickým hemolyticko-uremickým syndrómom, refraktérnou gMG a NMOSD sú proteíny komplementu nadmerne aktívne a poškadzujú vlastné krvinky pacienta. Ekulizumab bráni proteínom komplementu C5 poškadzovať krvinky tak, že zablokuje proteín komplementu, čo pomáha zmierniť príznaky ochorenia.

Aké prínosy lieku Soliris boli preukázané v štúdiách?

Paroxyzmálna nočná hemoglobinúria (PNH)

V prípade PNH sa liek Soliris porovnával s placebom (zdanlivým liekom) v jednej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 87 dospelých s PNH, ktorí v predchádzajúcom roku dostali pre anémiu najmenej štyri krvné transfúzie. Hlavným meradlom účinnosti bol účinok lieku Soliris na hladinu hemoglobínu v krvi a potreba transfúzie. Hemoglobín je bielkovina v červených krvinkách, ktorá v tele prenáša kyslík. U pacientov s paroxyzmálnou nočnou hemoglobinúriou vedie rozpad červených krviniek k zníženiu hladiny hemoglobínu. Liečba liekom Soliris počas 26 týždňov viedla k stabilným hladinám hemoglobínu u 49 % pacientov (21 zo 43) bez toho, aby potrebovali transfúzie červených krviniek. Na porovnanie, žiadny zo 44 pacientov, ktorí dostávali placebo, nemal stabilnú hladinu hemoglobínu a pacienti potrebovali priemerne 10 transfúzií.

V štúdii so 7 deťmi s PNH, ktoré dostali aspoň jednu transfúziu v predchádzajúcich dvoch rokoch, dostávali všetci pacienti liek Soliris. Šesť zo siedmich pacientov počas 12 týždňovej liečby liekom Soliris nepotrebovalo transfúziu červených krviniek a ich hladina hemoglobínu sa zlepšila.

V registračnej štúdii u pacientov s paroxyzmálnou nočnou hemoglobinúriou, ktorí ešte nikdy nedostali transfúziu, sa skúmali hladiny enzýmu laktátdehydrogenázy (LDH) v krvi. Hladiny enzýmu laktátdehydrogenázy stúpajú so zvýšeným rozpadom červených krviniek. Štúdiou sa zistilo, že liečba liekom Soliris počas 6 mesiacov viedla ku klinicky podstatnému zníženiu hladiny enzýmu laktátdehydrogenázy, ktorý je ukazovateľom zníženia rozpadu červených krviniek.

Atypický hemolyticko-uremický syndróm (aHUS)

V prípade aHUS sa liek Soliris skúmal v troch hlavných štúdiách, na ktorých sa zúčastnilo 67 pacientov. Na prvej štúdii sa zúčastnilo 17 pacientov s aHUS, ktorí neodpovedali na infúziu či výmenu plazmy alebo ktorých nebolo takýmto spôsobom možné liečiť. Liečba liekom Soliris zvýšila počet krvných doštičiek u 82 % pacientov a počet krvných doštičiek dosiahol bežnú hladinu u 87 % (13 z 15 pacientov), ktorí mali nižší počet krvných doštičiek na začiatku. Okrem toho sa u 76 % osôb dosiahla tzv. hematologická normalizácia (normálna hladina krvných doštičiek a enzýmu laktátdehydrogenázy).

V druhej štúdii s 20 pacientmi s atypickým hemolyticko-uremickým syndrómom, ktorí už dostávali výmenu plazmy alebo infúziu, 80 % pacientov nepotrebovalo výmenu plazmy, infúziu ani dialýzu a 90 % pacientov dosiahlo hematologickú normalizáciu pri liečbe liekom Soliris.

Na tretej štúdii sa zúčastnilo 30 pacientov s atypickým hemolyticko-uremickým syndrómom, ktorí už dostali aspoň jednu dávku lieku Soliris. Liečbou sa zvýšil počet krvných doštičiek na normálnu úroveň u 83 % pacientov, pričom sa počet krvných doštičiek zvýšil na normálnu úroveň u 77 % (10 z 13 pacientov), ktorí mali na začiatku nízky počet krvných doštičiek.

Refraktérna gMG

Liek Soliris sa porovnával s placebom v jednej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 126 dospelých s myasténiou gravis, u ktorých sa uskutočnila štandardná liečba, ktorá zlyhala. Liečba liekom Soliris zlepšila symptómy pacientov a ich schopnosť vykonávať každodenné činnosti podľa štandardného systému hodnotenia. Liek Soliris viedol po 26 týždňoch k zníženiu o 4,7 bodu na stupnici, zatiaľ čo placebo viedlo k zníženiu o 2,8 bodu. Zníženie o 2 body odzrkadľuje klinicky významné zlepšenie stavu pacienta.

Podobné výsledky boli pozorované u detí. Na základe hlavnej štúdie, na ktorej sa zúčastnilo 11 detí starších ako 12 rokov, sa ukázalo, že liek Soliris zlepšil príznaky a schopnosť pacientov vykonávať denné činnosti o 5,2 po 12 týždňoch liečby a 5,8 bodu po 26 týždňoch liečby. Na základe týchto výsledkov sa očakáva, že liek účinkuje podobným spôsobom u detí vo veku od 6 do 12 rokov.

Neuromyelitis optica a jej spektrum ochorení (NMOSD)

V prípade NMOSD sa liek Soliris porovnával s placebom v jednej hlavnej štúdii so 143 dospelými, ktorých ochorenie relapsovalo. Hlavným meradlom účinnosti bol čas do nasledujúceho relapsu u určitého počtu pacientov. V priemere po približne 22 mesiacoch došlo u pacientov liečených liekom Soliris k relapsu, zatiaľ čo u 43 % pacientov liečených placebom došlo k relapsu v priemere už po približne 9 mesiacoch.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Soliris?

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

Najčastejší vedľajší účinok lieku Soliris (ktorý môže postihnúť viac ako 1 osobu z 10) je bolesť hlavy. Najzávažnejší vedľajší účinok, ktorý môže postihnúť 1 osobu zo 100, je meningokoková sepsa (ak baktérie a ich toxíny cirkulujú v krvi a poškodzujú orgány).

Keďže existuje zvýšené riziko vzniku meningokokovej sepsy, liek Soliris nesmú dostávať osoby s infekciou spôsobenou *Neisseria meningitidis*. Nesmú ho dostávať ani pacienti, ktorí neboli zaočkovaní

proti tejto baktérii. Výnimku tvoria pacienti, ktorí boli zaočkovaní a dostávajú vhodnú antibiotickú liečbu na zníženie rizika infekcie počas dvoch týždňov po očkovaní.

Prečo bol liek Soliris povolený v EÚ?

Preukázalo sa, že liek Soliris je prínosom pre pacientov s týmito zriedkavými chorobami. Bezpečnostný profil liek bol podobný pri všetkých chorobách a považuje sa za prijateľný. Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Soliris sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na jeho používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Soliris?

Spoločnosť, ktorá liek Soliris uvádza na trh, zabezpečí, aby sa distribúcia lieku uskutočnila až po overení toho, či bol pacient primerane zaočkovaný proti *Neisseria meningitides*. Spoločnosť tiež poskytne predpisujúcim lekárom a pacientom informácie o bezpečnosti lieku a predpisujúcim lekárom a lekárnikom pripomenie, aby skontrolovali, či sa u pacientov, ktorí dostali liek Soliris, nevyžaduje ďalšie očkovanie. Pacienti tiež dostanú kartu, na ktorej sú vysvetlené príznaky určitých druhov infekcie, spolu s pokynmi, aby v prípade výskytu týchto príznakov okamžite vyhľadali lekársku pomoc.

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

Ďalšie informácie o lieku Soliris

Lieku Soliris bolo dňa 20. júna 2007 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Soliris sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

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

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 7-2023