

ЧАСТИНА VI: РЕЗЮМЕ ПЛАНУ УПРАВЛІННЯ РИЗИКАМИ

РЕЗЮМЕ ПЛАНУ УПРАВЛІННЯ РИЗИКАМИ ДЛЯ ЛІКАРСЬКОГО ЗАСОБУ ПІАСКАЙ® (КРОВАЛІМАБ)

Це резюме плану управління ризиками (ПУР) для лікарського засобу (ЛЗ) ПІАСКАЙ® (кравалімаб). В ПУР наведена детальна інформація щодо важливих ризиків при застосуванні ЛЗ ПІАСКАЙ®, яким чином ці ризики можуть бути мінімізовані, і яким чином можливо отримати більше інформації про ризики та відсутню інформацію при застосуванні кравалімабу (відсутня інформація).

В Інструкції для медичного застосування для ЛЗ ПІАСКАЙ® наведена необхідна інформація для медичних працівників та пацієнтів щодо застосування ЛЗ ПІАСКАЙ®.

Це резюме ПУР для ЛЗ ПІАСКАЙ® слід читати у контексті всієї цієї інформації, включаючи звіт з оцінки та резюме, що викладено доступною мовою, що є частиною європейського публічного звіту з оцінки (EPAR).

Важливі нові проблеми або зміни до чинних версій документів будуть включені в оновлення ПУР для ЛЗ ПІАСКАЙ®.

I. ЛІКАРСЬКИЙ ЗАСІБ ТА ДЛЯ ЧОГО ВІН ЗАСТОСОВУЄТЬСЯ

ЛЗ ПІАСКАЙ® зареєстрований для лікування пацієнтів віком від 12 років із масою тіла 40 кг і більше, які страждають на пароксизмальну нічну гемоглобінурію (див. Інструкцію для медичного застосування, для повного опису показань).

- У пацієнтів із гемолізом, який супроводжується клінічними симптомами, що свідчать про високу активність захворювання.
- У пацієнтів, які є клінічно стабільними після щонайменше 6 місяців терапії інгібітором компонента C5 комплекменту.

ЛЗ ПІАСКАЙ® містить *кравалімаб* як активну речовину та вводиться шляхом внутрішньовенної інфузії або підшкірної ін'єкції.

Детальнішу інформацію про оцінку користі застосування ЛЗ ПІАСКАЙ® див. у EPAR для ЛЗ ПІАСКАЙ®, у тому числі в резюме, що викладено доступною мовою, що знаходиться на веб-сайті Європейського агентства по лікарським засобам (EMA), на сторінці для даного лікарського засобу.

II. РИЗИКИ, ПОВ'ЯЗАНІ ІЗ ЗАСТОСУВАННЯМ ЛІКАРСЬКОГО ЗАСОБУ ТА ЗАХОДИ З МІНІМІЗАЦІЇ АБО ПОДАЛЬШОГО ОПИСУ РИЗИКІВ

Нижче зазначені важливі ризики для ЛЗ ПІАСКАЙ®, а також запропоновані заходи для мінімізації цих ризиків та пропоновані дослідження для подальшого вивчення ризиків *кравалімабу*.

Заходами по мінімізації ризиків, ідентифікованих для лікарського засобу, можуть бути:

- Специфічна інформація, така як застереження, запобіжні заходи, та поради щодо правильного застосування, наведені в інструкції для медичного застосування для медичних працівників та пацієнтів;

- Важливі поради, що вказані на упаковці лікарського засобу;
- Затверджений розмір упаковки – кількість лікарського засобу в упаковці, яка вибрана щоб переконатися у тому, що лікарський засіб застосований правильно;
- Рецептний статус – спосіб, яким лікарський засіб розповсюджений серед пацієнтів (тобто за рецептом чи без рецепту), що може допомогти мінімізувати його ризики.

Разом ці заходи загалом становлять *рутинні заходи мінімізації ризиків*.

У випадку кровалімабу ці заходи доповнені *додатковими заходами мінімізації ризиків*, зазначеними нижче у розділі про відповідні ризики.

На додаток до цих заходів, інформація про небажані явища постійно збирається та регулярно аналізується, включаючи оцінку Періодично оновлюваного звіту з безпеки (ПОЗБ), щоб за необхідності можна було вжити негайних заходів. Ці заходи становлять *рутинні заходи з фармаконагляду*.

Якщо важлива інформація, що може вплинути на безпечне застосування кровалімабу ще недоступна, зазначена нижче як «відсутня інформація»

II.A ПЕРЕЛІК ВАЖЛИВИХ РИЗИКІВ ТА ВІДСУТНЯ ІНФОРМАЦІЯ

Важливі ризики при застосуванні кровалімабу – це ризики, для яких необхідні спеціальні заходи з управління ризиками з метою подальшого вивчення або мінімізації ризику, для безпечного застосування лікарського засобу. Важливі ризики можуть бути розцінені як ідентифіковані або потенційні. Ідентифіковані ризики – це проблеми, для яких наявні достатні докази зв'язку із застосуванням кровалімабу. Потенційні ризики – це проблеми, для яких зв'язок із даним лікарським засобом є можливим на основі наявних даних, однак цей зв'язок ще не є встановленим і потребує подальшої оцінки. Відсутня інформація – це інформація з безпеки лікарського засобу, яка на даний час відсутня, і яку потрібно зібрати (напр. при довготривалому застосуванні лікарського засобу).

Перелік важливих ризиків та відсутньої інформації	
Важливі ідентифіковані ризики	• Серйозні інфекції • Реакції, пов'язані з інфузією та ін'єкцією • Реакції III типу імунних комплексів (пацієнти, які переходять з екулізумабу або равулізумабу на кровалімаб (та навпаки)) • Менінгококова інфекція • Імуногенність
Важливі потенційні ризики	• Серйозний гемоліз після припинення застосування лікарського засобу • Злоякісні новоутворення та гематологічні аномалії
Відсутня інформація	• Використання під час вагітності та/або грудного вигодовування

II.В РЕЗЮМЕ ВАЖЛИВИХ РИЗИКІВ

Важливий ідентифікований ризик – Серйозні інфекції	
Докази зв'язку даного ризику із даним лікарським засобом	Серйозні інфекції, що не є менінгококковими, належать до класового ефекту. Цей важливий ідентифікований ризик базується на даних про безпеку кровалімабу в популяції пацієнтів, отриманих у фазі III досліджень (BO42162, YO42311, та BO42161) та допоміжному дослідженні фази I/II BP39144.
Фактори ризику та групи ризику	Лікування кровалімабом може підвищувати сприйнятливість до серйозних інфекцій, оскільки він блокує активацію термінального комплементу. Крім того, пацієнти з ПНГ (пароксизмальною нічною гемоглобінурією), які мають лейкопенію, можуть мати підвищений ризик розвитку серйозних інфекцій.
Заходи з мінімізації ризику	Рутинні заходи з мінімізації ризику: Рутинні заходи з мінімізації ризику описуються в: Розділ «Особливості застосування» Інструкції для медичного застосування в Україні Рекомендується проведення вакцинації пацієнтів відповідно до місцевих настанов з метою профілактики інфекцій, спричинених <i>Streptococcus pneumoniae</i> та <i>Haemophilus influenzae type b</i>. Рекомендоване ретельне спостереження за пацієнтами з активною системною інфекцією для виявлення ознак та симптомів загострення інфекції Додаткові заходи з мінімізації ризиків: Навчальні матеріали: Керівництва для спеціалістів системи охорони здоров'я, які призначають лікування, а також для пацієнтів/опікунів
Додаткові заходи з фармаконагляду	Додаткові заходи з фармаконагляду: Дослідження MO45473 Див. Розділ II.C цього резюме для огляду плану післяреєстраційної розробки

Важливий ідентифікований ризик – Реакції, пов'язані з інфузією та ін'єкцією	
Докази зв'язку даного ризику із даним лікарським засобом	Реакції, пов'язані з інфузією, та системні реакції, пов'язані з ін'єкціями, є класовими ефектами для інших терапій, що застосовують інгібітори C3 і C5. У клінічних випробуваннях за участю пацієнтів із ПНГ, які отримували екулізумаб, жоден випадок IRR не вимагав припинення лікування. У клінічних дослідженнях равулізумабу (за різними показаннями) IRR спостерігалися приблизно у 1% пацієнтів, які отримували препарат. Серед таких явищ зазначали біль у нижній частині спини, зниження або підвищення артеріального тиску, дискомфорт у кінцівках, алергічну реакцію, дисгевзію та сонливість. Жодна з цих реакцій не призвела до припинення терапії. Під час клінічних досліджень пегцетакоплану у пацієнтів спостерігалися системні реакції гіперчутливості. У одного пацієнта була серйозна алергічна реакція, яка минула після відповідного лікування. Цей важливий ідентифікований ризик базується на даних про безпеку кровалімабу в популяції пацієнтів, отриманих у фазі III досліджень (BO42162, YO42311, та BO42161) та допоміжному дослідженні фази I/II BP39144.
Фактори ризику та групи ризику	Пацієнти з анафілаксією в анамнезі та особи з atopією належать до групи підвищеного ризику. Оскільки анафілаксія може мати імунологічний механізм, антитіла до лікарського засобу можуть бути фактором ризику, оскільки вони можуть спричиняти утворення циркулюючих імунних комплексів, що призводять до генералізованих реакцій гіперчутливості. У іншому випадку немає надійних прогностичних маркерів, які дозволяють визначити, чи будуть пацієнти чутливими до реакцій, пов'язаних із системною інфузією та ін'єкціями кровалімабу.
Заходи з мінімізації ризику	Рутинні заходи з мінімізації ризику: Рутинні заходи з мінімізації ризику описуються в: Розділ «Спосіб застосування да дози» Інструкції для медичного застосування в Україні Рекомендація щодо того, що пацієнт/опікун, може вводити дозу лікарського засобу підшкірно без нагляду спеціаліста системи охорони здоров'я після відповідного навчання, якщо лікуючий лікар вважає це доцільним. Рекомендація сповільнити або припинити інфузію навантажувальної дози при внутрішньовенному введенні у

	разі реакції, пов'язаної з інфузією або негайно припинити, якщо пацієнт відчуває серйозну реакцію гіперчутливості. Розділ «Особливості застосування» Інструкції для медичного застосування в Україні Рекомендація для пацієнта/опікуна, негайно звернутися за медичною допомогою, якщо у пацієнта розвиваються симптоми серйозних алергічних реакцій, включаючи підтвердження спеціалістом системи охорони здоров'я щодо продовження лікування кровалімабом та застосування відповідної терапії. Додаткові заходи з мінімізації ризиків: Навчальні матеріали: Керівництва для спеціалістів системи охорони здоров'я, які призначають лікування. Додатково будуть надані картка для пацієнта
Додаткові заходи з фармаконагляду	Додаткові заходи з фармаконагляду: Відсутні

Важливий ідентифікований ризик – Реакції III типу імунних комплексів (пацієнти, які переходять з екулізумабу або равулізумабу на кровалімаб (та навпаки))	
Докази зв'язку даного ризику із даним лікарським засобом	Цей важливий ідентифікований ризик був визначений на основі даних пацієнтів, які змінили терапію інгібітором C5 в групі оцінки безпеки в дослідженнях BO42162, BO42161 та BP39144. Дослідження YO42311 не внесло суттєвого внеску в оцінку цього ризику, оскільки в ньому брали участь пацієнти, які раніше не отримували лікування, і тимчасові імунні комплекси виникали лише у пацієнтів, які переходили на/з інших інгібіторів C5, що зв'язують епітопи, відмінні від кровалімабу, тому цей ризик не був актуальним чи очікуваним у цьому дослідженні.
Фактори ризику та групи ризику	Реакції імунного комплексу III типу у пацієнтів, які змінюють терапію інгібіторами комплементу C5, є зростаючим ризиком, і на даний момент відсутні дані щодо факторів ризику та груп пацієнтів, які піддаються цьому ризику.
Заходи з мінімізації ризику	Рутинні заходи з мінімізації ризику: Рутинні заходи з мінімізації ризику описуються в: Розділ «Особливості застосування» Інструкції для медичного застосування в Україні

	Рекомендація проводити моніторинг протягом перших 30 днів після переходу з екулізумабу або равулізумабу на кровалімаб для виявлення симптомів реакцій типу III імунних комплексів. Надано рекомендації щодо належного лікування у разі виникнення легких/помірних або тяжких реакцій. Додаткові заходи з мінімізації ризиків: Відсутні
Додаткові заходи з фармаконагляду	Додаткові заходи з фармаконагляду: Відсутні

Важливий ідентифікований ризик – Менінгококова інфекція	
Докази зв'язку даного ризику із даним лікарським засобом	Менінгококова інфекція є ефектом класу. Небезпечні для життя та смертельні менінгококові інфекції спостерігалися у пацієнтів, які отримували лікування екулізумабом, який також є анти-C5 mAb. Це пов'язано з приблизно 1000-2000-кратним збільшенням ризику зараження менінгоковою інфекцією порівняно з загальною річною нормою захворюваності в населення США (0,11–0,12 на 100 000 осіб у 2015–2017 роках). Менінгококова інфекція може швидко стати небезпечною для життя або смертельною, якщо її не виявити і не почати лікування на ранній стадії. У клінічних дослідженнях серед пацієнтів з ПНГ, які отримували екулізумаб, у 2 із 196 пацієнтів виникли серйозні менінгококові інфекції; обидва пацієнти були вакциновані. У клінічних дослідженнях равулізумабу у пацієнтів з ПНГ 3 із 261 дорослого пацієнта розвинули серйозну менінгококову інфекцію/сепсис; всі троє були вакциновані. Серед педіатричних пацієнтів (n = 13), які отримували равулізумаб у клінічних випробуваннях, менінгококові інфекції не реєструвалися. У клінічних дослідженнях пегцетакоплану серед пацієнтів з ПНГ не було зареєстровано випадків менінгококових інфекцій. Не було випадків менінгококових інфекцій у пацієнтів з ПНГ, які отримували кровалімаб у дослідженнях фази III (BO42162, YO42311 і BO42161) і допоміжних дослідженнях фази I/II (BP39144). Однак, у дослідженні BO42354, яке оцінювало кровалімаб у педіатричних пацієнтів з аГУС, було зафіксовано 1 випадок менінгокової інфекції (Neisseria meningitidis серотипу X) у пацієнта, який був вакцинований відповідно до вимог протоколу. Цей важливий ідентифікований ризик був встановлений на основі даних, що вважається ефектом класу через механізм дії препарату, а також через дані дослідження aHUS, де 1 пацієнт під час лікування кровалімабом отримав менінгококову інфекцію.

Фактори ризику та групи ризику	Попередніми причинами менінгококової інфекції є вірусні інфекції, скупченість людей у приміщеннях та куріння, які є основними факторами ризику в загальній популяції. Наступні групи пацієнтів, пов'язані з пароксизмальною нічною гемоглобінурією (ПНГ), мають підвищений ризик розвитку менінгококової інфекції: особи з постійним дефіцитом компонентів комплементу та ті, хто приймає інгібітори комплементу (включаючи кровалімаб).
Заходи з мінімізації ризику	Рутинні заходи з мінімізації ризику: Рутинні заходи з мінімізації ризику описуються в: • Розділ «Протипоказання» Інструкції для медичного застосування в Україні • Розділ «Особливості застосування» Інструкції для медичного застосування в Україні Вимога вакцинувати пацієнта тетравалентною менінгококовою вакциною принаймні за 2 тижні до отримання першої дози лікування кровалімабом; або якщо негайна терапія кровалімабом показана невакцинованому пацієнту, необхідну вакцинацію слід провести якомога швидше, і пацієнти повинні отримувати профілактичні антибіотики з моменту початку лікування кровалімабом до 2 тижнів після вакцинації; а також підтримувати актуальність щеплень відповідно до чинних місцевих настанов. Рекомендація ретельно контролювати пацієнта щодо погіршення симптомів пароксизмальної нічної гемоглобінурії (ПНГ) у зв'язку з вакцинацією. Рекомендація контролювати пацієнта щодо ранніх ознак менінгококової інфекції та розглянути можливість використання антибіотиків на основі місцевих настанов, інформувати пацієнта про ці ознаки, симптоми та дії, і наполегливо закликати його негайно звернутися за медичною допомогою. Лікар повинен обговорити користь та ризики лікування кровалімабом з пацієнтами. Рекомендація надати пацієнту картку пацієнта та посібник для пацієнта. Додаткові заходи з мінімізації ризиків: • Навчальні матеріали: Керівництва для спеціалістів системи охорони здоров'я, які призначають лікування, а також для пацієнтів/опікунів. • Картка пацієнта.

	- Програма контролюваного доступу. - Нагадування про вакцинацію/ревакцинацію.
Додаткові заходи з фармаконагляду	Додаткові заходи з фармаконагляду: Дослідження MO45473 Див. Розділ II.C цього резюме для огляду плану післяреєстраційної розробки

Важливий ідентифікований ризик – Імуногенність	
Докази зв'язку даного ризику із даним лікарським засобом	Цей ризик базується на відомому теоретичному ризику для всіх терапевтичних білкових засобів, включаючи моноклональні антитіла (mAbs). Антиагенти до екулізумабу та равулізумабу були виявлені в програмі фази III для ПНГ; однак не було виявлено явної кореляції між розвитком антитіл до препарату та клінічною відповіддю для жодної з молекул. Докази втрати експозиції та ефективності кровалімабу при ПНГ базуються на фармакокінетичних (ФК) і фармакодинамічних (ФД) показниках (наприклад, CH50 або вільний C5), а також клінічній відповіді (рівень LDH) у фазі III досліджень кровалімабу (BO42162, YO42311 і BO42161).
Фактори ризику та групи ризику	Не існує єдиного фактора ризику розвитку антитіл до препарату. На імуногенність можуть впливати як специфічні фактори пацієнта, так і особливості продукту. Наприклад, попередня сенсibilізація або алергія в анамнезі, шлях введення та генетичний статус можуть мати значення. Пацієнти особливо схильні до ризику зниження ефективності, якщо у них виявляються високі титри нейтралізуючих антитіл до препарату, з високою афінністю та стійкістю.
Заходи з мінімізації ризику	Рутинні заходи з мінімізації ризику: Рутинні заходи з мінімізації ризику описуються в: Розділ «Особливості застосування» Інструкції для медичного застосування в Україні Вимога контролювати наявність клінічних ознак втрати експозиції та ефективності, включаючи серйозний внутрішньосудинний гемоліз. У разі стійкого серйозного внутрішньосудинного гемолізу попри комплаєнтне лікування кровалімабо, пацієнти повинні бути оперативно обстежені для оцінки етіології, а також слід розглянути можливість розвитку антитіл до лікарського засобу, що призводять до втрати експозиції та ефективності. Слід провести оцінку співвідношення користі та ризиків продовження застосування

	кроволімабу та розглянути можливість переходу на альтернативну терапію. Пацієнтам/опікунам, слід порадити негайно звернутися за медичною допомогою, якщо у пацієнта розвиваються ознаки погіршення симптомів пароксизмальної нічної гемоглобінурії. Розділ «Побічні реакції» Інструкції для медичного застосування в Україні Рекомендація щодо оперативного обстеження пацієнта спеціалістами системи охорони здоров'я у разі клінічних ознак втрати ефективності відповідно до настанов, викладених у Розділі «Особливості застосування» Інструкції для медичного застосування. Додаткові заходи з мінімізації ризиків: Відсутні
Додаткові заходи з фармаконагляду	Додаткові заходи з фармаконагляду: Відсутні

Важливий потенційний ризик – Серйозний гемоліз після припинення застосування лікарського засобу	
Докази зв'язку даного ризику із даним лікарським засобом	Серйозний гемоліз після припинення лікування комплемент-таргетною терапією є класовим ефектом, що зумовлено механізмом дії інгібіторів комплементу C3 та C5. Пацієнти з пароксизмальною нічною гемоглобінурією (ПНГ), які отримують лікування лікарським засобом екулізумаб/равулізумаб/пегцетакоплан, інформуються про те, що у них може розвинути гемоліз, спричинений ПНГ, після припинення лікування, і що вони повинні перебувати під наглядом спеціаліста системи охорони здоров'я після припинення лікування. Цей важливий потенційний ризик є теоретично можливим у пацієнтів із ПНГ, які отримують лікування кроволімабом, що ґрунтується на механізмі дії кроволімабу та природі ПНГ.
Фактори ризику та групи ризику	Чіткі фактори ризику або групи ризику не були визначені через низьку кількість пацієнтів, які припинили лікування кроволімабом.
Заходи з мінімізації ризику	Рутинні заходи з мінімізації ризику: Рутинні заходи з мінімізації ризику описуються в: Розділ «Особливості застосування» Інструкції для медичного застосування в Україні

	Вимога щодо ретельного контролю пацієнта на наявність ознак і симптомів серйозного внутрішньосудинного гемолізу після припинення лікування, якщо пацієнт не переходить на інше лікування ПНГ. Додаткові заходи з мінімізації ризиків: Навчальні матеріали: Керівництва для спеціалістів системи охорони здоров'я, які призначають лікування, а також для пацієнтів/опікунів
Додаткові заходи з фармаконагляду	Додаткові заходи з фармаконагляду: Дослідження MO45473 Див. Розділ II.C цього резюме для огляду плану післяреєстраційної розробки

Важливий потенційний ризик – Злоякісні новоутворення та гематологічні аномалії	
Докази зв'язку даного ризику із даним лікарським засобом	Кровалімаб є моноклональним антитілом (mAb), інгібітором комплементу C5, що блокує термінальну активацію комплементу; отже, пацієнти можуть мати ризик розвитку злоякісних новоутворень або гематологічних порушень.
Фактори ризику та групи ризику	Не було встановлено чітких факторів ризику або груп ризику через малу кількість пацієнтів, у яких спостерігалися злоякісні або гематологічні відхилення після лікування кровалімабом.
Заходи з мінімізації ризику	Рутинні заходи з мінімізації ризику: Відсутні Додаткові заходи з мінімізації ризиків: Відсутні
Додаткові заходи з фармаконагляду	Додаткові заходи з фармаконагляду: Дослідження MO45473 Див. Розділ II.C цього резюме для огляду плану післяреєстраційної розробки

Відсутня інформація – Використання під час вагітності та/або грудного вигодовування	
Заходи з мінімізації ризику	Рутинні заходи з мінімізації ризику: Розділ «Застосування у період вагітності або годування груддю» Інструкції для медичного застосування в Україні

	Рекомендація для жінок з репродуктивним потенціалом, яким призначено кровалімаб, звернутися до свого лікаря, якщо пацієнтка планує завагітніти або підозрює, що вона вагітна. Рекомендація щодо того, що спеціаліст системи охорони здоров'я має розглянути питання про припинення грудного вигодовування або припинення терапії кровалімабом, беручи до уваги користь грудного вигодовування для дитини та користь терапії для жінки. Додаткові заходи з мінімізації ризиків: Відсутні
Додаткові заходи з фармаконагляду	Додаткові заходи з фармаконагляду: Дослідження MO45473 Див. Розділ II.C цього резюме для огляду плану післяреєстраційної розробки

II.C ПЛАН ПІСЛЯРЕЄСТРАЦІЙНОЇ РОЗРОБКИ

II.C.1 Дослідження, які є умовами реєстрації лікарського засобу

Немає досліджень, що є умовами для схвалення або специфічних зобов'язань для кровалімабу.

II.C.2 Інші дослідження в плані післяреєстраційної розробки

Коротка назва та назва дослідження/діяльності: Дослідження безпеки кровалімабу для оцінки безпечних подій та специфічних умов, включаючи результати вагітності та новонароджених у реєстрі IPIG (MO45473).
Обґрунтування та цілі дослідження: Щоб зібрати більше інформації про безпеку кровалімабу в реальних умовах, Компанія вступила в партнерство з реєстром IPIG для спільного створення реєстру даних, специфічного для цього продукту, в реєстрі IPIG, з метою збору додаткової інформації про серйозні несприятливі події та події, що становлять особливий інтерес, такі як серйозні інфекції, серйозний гемоліз після припинення лікування, злоякісні пухлини, гематологічні аномалії, а також наслідки для вагітності та здоров'я немовлят у пацієнтів, які отримували лікування кровалімабом. Це допоможе забезпечити подальший моніторинг загальної безпеки кровалімабу після спеціального схвалення. Основними цілями цього дослідження є: - Оцінити частоту побічних ефектів серед пацієнтів, які отримували кровалімаб (включаючи випадки серйозного гемолізу у пацієнтів, які припинили прийом препарату, серйозні інфекції, менінгококову інфекцію, злоякісні пухлини та гематологічні аномалії). - Оцінити наслідки для вагітності та здоров'я немовлят у пацієнтів із ПНГ, які отримували кровалімаб.

- Оцінити частоту несприятливих наслідків вагітності (під час вагітності та протягом 1 року після пологів) та наслідки пологів (живонароджені, спонтанні аборти, мертвонародження, планове переривання вагітності, передчасні пологи).
- Оцінити частоту несприятливих наслідків для плода/новонародженого/немовляти (включаючи великі та незначні вроджені вади розвитку, термін вагітності, постнатальний ріст та розвиток) і серйозні події безпеки при народженні та протягом першого року життя немовляти.
- Оцінити частоту серйозних наслідків для безпеки дітей серед жінок, які отримують кровалімаб, з урахуванням статусу грудного вигодовування.

Дизайн дослідження

Це багатоцентрове, багатонаціональне, обсерваційне, неінтервенційне дослідження, яке використовуватиме вторинні дані для опису безпеки та ефективності кровалімабу у пацієнтів з ПНГ, включаючи вагітних жінок. Первинний збір даних буде здійснюватися в рамках дослідження MO44987, що отримало назву «Crovalimab Silo». Crovalimab Silo є спеціальною частиною реєстру для цього продукту в реєстрі захворювань IPIG PNH, що іменується «Основний реєстр».

Очікується, що близько 300 пацієнтів будуть зареєстровані в цьому реєстрі кровалімабу. Пацієнти будуть спостерігатися під час лікування кровалімабом та протягом 12 місяців після припинення лікування (або до 12 тижнів, якщо вони починають прийом іншого інгібітора комплементу).

Етапи

Підсумковий протокол: 31 грудня 2024 р.

Перший проміжний звіт: 31 жовтня 2026 р. (наступні звіти надаватимуться кожні 2 роки, після чого — у рамках ПОЗБ)

Остаточний звіт про клінічне дослідження: 31 грудня 2036 р.

PNH / ПНГ - Пароксизмальна нічна гемоглобінурія

IPIG (International PNH Interest Group) - Міжнародна група з вивчення пароксизмальної нічної гемоглобінурії