



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Soliris (*eculizumab*)

Información general sobre Soliris y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

### ¿Qué es Soliris y para qué se utiliza?

Soliris es un medicamento utilizado para tratar adultos y niños con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) y síndrome hemolítico urémico atípico (SHUa).

Se trata de enfermedades genéticas potencialmente mortales, que provocan la descomposición de los glóbulos rojos, lo que produce diversas complicaciones médicas. La HPN se traduce en anemia (recuentos bajos de glóbulos rojos), trombosis (coágulos en los vasos sanguíneos), pancitopenia (recuentos bajos de células sanguíneas) y coloración oscura de la orina, mientras que el SHUa produce anemia, trombocitopenia (descenso del número de plaquetas, componentes que ayudan a la sangre a coagularse) e insuficiencia renal.

Soliris se utiliza en adultos y niños a partir de 6 años con miastenia grave (una enfermedad rara en la que el sistema inmunitario ataca y daña las células musculares y provoca debilidad muscular) y para quienes otros medicamentos no son eficaces (miastenia grave generalizada refractaria, MGg refractaria) y que presentan un anticuerpo específico en su organismo denominado anticuerpo AChR.

Soliris también se utiliza para el tratamiento de adultos con trastornos del espectro por neuromielitis óptica (NMOSD), una enfermedad en la que el sistema inmunitario daña las células nerviosas causando problemas principalmente con el nervio óptico (ojo) y la médula espinal (tejido nervioso que se extiende desde la base del cráneo hasta el centro de la espalda). Se utiliza en pacientes con un anticuerpo llamado AQP4 y cuya enfermedad es recidivante (cuando el paciente sufre [recaídas] entre períodos sin síntomas).

Soliris contiene el principio activo eculizumab.

Estas enfermedades son «raras» y Soliris fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado para tratar enfermedades raras). Puede encontrar información adicional sobre las designaciones de medicamentos huérfanos en la página web de la Agencia Europea de Medicamentos ([HPN](#): 17 de octubre de 2003; [SHUa](#): 24 de julio de 2009; [miastenia grave](#): 29 de julio de 2014; [NMOSD](#): 24 de abril de 2019).

---

**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



## ¿Cómo se usa Soliris?

El medicamento solo se podrá dispensar con receta médica y debe administrarse bajo la supervisión de un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con trastornos renales y trastornos que afecten al sistema nervioso o la sangre.

Soliris se administra mediante una perfusión (goteo intravenoso) en una vena y la dosis recomendada depende de su uso y, en el caso de pacientes menores de 18 años, del peso corporal. Soliris se administra semanalmente al principio y después cada dos o tres semanas.

Se vigilará a los pacientes por si aparecieran reacciones durante la perfusión y, como mínimo, una hora después de la misma. En caso de reacciones relacionadas con la perfusión, el médico puede interrumpir o reducir la velocidad de la perfusión.

En pacientes que reciben una plasmaféresis (extracción, tratamiento y devolución del plasma sanguíneo del aparato circulatorio, la parte líquida de la sangre) o una perfusión de plasma, son necesarias dosis adicionales de Soliris.

Soliris debe administrarse de por vida, a menos que el paciente desarrolle efectos adversos graves. El tratamiento también debe suspenderse en pacientes con MGg refractaria que no respondan a Soliris después de 12 semanas.

Si desea más información sobre el uso de Soliris, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

## ¿Cómo actúa Soliris?

El principio activo de Soliris, el eculizumab, es un anticuerpo monoclonal (un tipo de proteína) diseñado para unirse a la proteína del complemento C5, que es una parte del sistema de defensa del organismo denominado el «sistema complementario».

En pacientes con HPN y SHUa, MGg refractaria y NMOSD, las proteínas del complemento están sobreactivadas y provocan daños en las propias células del paciente. Al bloquear la proteína del complemento C5, el eculizumab evita que las proteínas del complemento ataquen a las células sanguíneas, con lo que se alivian los síntomas de la enfermedad.

## ¿Qué beneficios ha demostrado tener Soliris en los estudios?

### HPN

En la HPN, Soliris se comparó con placebo (un tratamiento simulado) en un estudio principal realizado en 87 pacientes adultos con HPN que fueron tratados con al menos cuatro transfusiones de sangre por anemia durante el año anterior. Los criterios principales de valoración de la eficacia fueron el efecto de Soliris sobre los niveles de hemoglobina en sangre y la necesidad de transfusiones. La hemoglobina es la proteína de los glóbulos rojos que transporta el oxígeno por todo el cuerpo. En los pacientes con HPN, la descomposición de glóbulos rojos lleva a una reducción de los niveles de hemoglobina. El tratamiento con Soliris durante 26 semanas dio lugar a unos niveles estables de hemoglobina en el 49 % de los pacientes (21 de 43), sin necesidad de transfusiones de glóbulos rojos. Por el contrario, ninguno de los 44 pacientes que recibieron placebo presentó concentraciones estables de hemoglobina y precisaron una media de 10 transfusiones.

En un estudio de 7 niños con HPN que fueron tratados con al menos una transfusión en los dos años anteriores, todos los pacientes recibieron Soliris. Seis de siete pacientes no precisaron transfusión de

glóbulos rojos y los niveles de hemoglobina mejoraron durante las 12 semanas de tratamiento con Soliris.

En un estudio de registro de pacientes con HPN a los que nunca se había sometido a una transfusión sanguínea, se analizaron los niveles en sangre de la enzima lactatodehidrogenasa (LDH). (Los niveles de LDH aumentan a medida que aumenta la descomposición de los glóbulos rojos). En el estudio se descubrió que el tratamiento con Soliris durante 6 meses dio lugar a reducciones clínicamente significativas de los niveles de LDH, lo que indicaba una menor descomposición de los glóbulos rojos.

### **SHUa**

En el caso del SHUa, Soliris también se estudió en tres estudios principales en los que participaron 67 pacientes. En el primero participaron 17 pacientes con SHUa, que no habían respondido o no habían podido ser tratados con plasmaféresis o perfusión de plasma. El tratamiento con Soliris aumentó los recuentos de plaquetas en el 82 % de los pacientes, mientras que el 87 % (13 de cada 15) de los pacientes con recuentos de plaquetas inicialmente bajos consiguió normalizarlos. Además, el 76 % consiguió la «normalización hematológica» (niveles de plaquetas y LDH dentro de los niveles normales).

En el segundo estudio, en el que participaron 20 pacientes con SHUa que ya recibían una plasmaféresis o una perfusión, un 80 % de los pacientes ya no necesitaron plasmaféresis, perfusión o diálisis y un 90 % de los pacientes lograron la normalización hematológica después del tratamiento con Soliris.

En el tercer estudio participaron 30 pacientes con SHUa que habían recibido al menos una dosis de Soliris. Gracias al tratamiento, los recuentos de plaquetas aumentaron y se situaron dentro de los niveles normales en el 83 % de los pacientes, mientras que el 77 % (10 de cada 13 pacientes) con recuentos de plaquetas inicialmente bajos consiguieron la normalización de dicho recuento.

### **MGg refractaria**

Soliris se comparó con placebo en un estudio principal en el que participaron 126 adultos con miastenia grave que anteriormente habían recibido el tratamiento de referencia y cuyo tratamiento había fracasado. El tratamiento con Soliris mejoró los síntomas de los pacientes y su capacidad para llevar a cabo las actividades cotidianas sobre la base de un sistema de puntuación de referencia. Soliris provocó una reducción de 4,7 puntos en la escala, mientras que la reducción del placebo fue de 2,8 puntos después de 26 semanas. Una reducción en la puntuación de 2 puntos indica una mejora clínicamente significativa en el estado del paciente.

Se observaron resultados similares en niños. En un estudio principal de 11 niños a partir de 12 años de edad se reveló que Soliris mejoró los síntomas y la capacidad de los pacientes para llevar a cabo las actividades diarias en 5,2 y 5,8 puntos después de 12 semanas y 26 semanas de tratamiento respectivamente. Sobre la base de estos resultados, se prevé que el medicamento también actúe de forma similar en niños de entre 6 y 12 años de edad.

### **Trastornos del espectro por neuromielitis óptica (NMOSD)**

En el caso de NMOSD, Soliris se comparó con un placebo en un estudio principal en el que participaron 143 adultos con NMOSD cuya enfermedad había recaído. El criterio de eficacia principal fue el tiempo transcurrido hasta que cierto número de pacientes experimentaron una recaída. Al cabo de 22 meses de promedio, el 3 % de los pacientes tratados con Soliris había sufrido una recaída, mientras que el 43 % de los pacientes tratados con placebo ya habían sufrido una recaída después de unos 9 meses de promedio.

## ¿Cuáles son los riesgos asociados a Soliris?

Para consultar la lista completa de efectos adversos y restricciones de Soliris, ver el prospecto.

El efecto adverso más frecuente de Soliris (puede afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) es el dolor de cabeza. El efecto adverso más grave, que puede afectar a 1 de cada 100 personas, es la sepsis meningocócica (cuando las bacterias y sus toxinas circulan por la sangre y dañan los órganos).

Debido a un mayor riesgo de desarrollar una sepsis meningocócica, Soliris no se deberá administrar a personas infectadas por *Neisseria meningitides* o que no hayan sido vacunadas contra dicha bacteria, a no ser que hayan sido vacunadas y tomen los antibióticos necesarios para reducir el riesgo de infección durante dos semanas después de la vacunación.

## ¿Por qué se ha autorizado Soliris en la UE?

Soliris ha demostrado ser beneficioso para tratar a los pacientes con estas enfermedades raras. El perfil de seguridad fue similar para todas las enfermedades y se consideró aceptable. La Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Soliris son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE.

## ¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Soliris?

La compañía que comercializa Soliris garantizará que la distribución del medicamento solo tenga lugar tras verificar que el paciente ha sido vacunado adecuadamente contra *Neisseria meningitides*. La empresa también facilitará a los médicos y a los pacientes información sobre la seguridad del medicamento y les enviará recordatorios para comprobar si es necesaria cualquier vacunación posterior de los pacientes tratados con Soliris. Los pacientes también recibirán una tarjeta en la que se expliquen los síntomas de algunos tipos de infecciones y se les indique la necesidad de solicitar atención médica inmediata si se presentan dichos síntomas.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Soliris se han incluido también en el prospecto y en el resumen de las características del producto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Soliris se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados con Soliris son evaluados cuidadosamente y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

## Otra información sobre Soliris

Soliris recibió una autorización de comercialización válida en toda la UE el 20 de junio de 2007.

Puede encontrar información adicional sobre Soliris en la página web de la Agencia:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Soliris](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Soliris).

Fecha de la última actualización del presente resumen: 07-2023.