



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/603278/2021
EMA/H/C/005553

Aspaveli (πεγκσετακοπλάνη)

Ανασκόπηση του Aspaveli και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Aspaveli και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Aspaveli είναι φάρμακο για τη θεραπεία ενηλίκων με παροξυσμική νυκτερινή αιμοσφαιρινουρία (ΠΝΑ), μια πάθηση κατά την οποία παρατηρείται υπερβολική διάσπαση των ερυθρών αιμοσφαιρίων (αιμόλυση) με αποτέλεσμα την απελευθέρωση μεγάλων ποσοτήτων αιμοσφαιρίνης (της πρωτεΐνης των ερυθρών αιμοσφαιρίων που μεταφέρει οξυγόνο σε όλον τον οργανισμό) στα ούρα. Το Aspaveli χορηγείται σε ασθενείς που εξακολουθούν να πάσχουν από αναιμία (χαμηλά επίπεδα ερυθρών αιμοσφαιρίων), παρά τη θεραπεία με έναν τύπο φαρμάκου που ονομάζεται αναστολέας C5 για τουλάχιστον 3 μήνες.

Η παροξυσμική νυκτερινή αιμοσφαιρινουρία είναι σπάνια και το Aspaveli χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 22 Μαΐου 2017. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Το Aspaveli περιέχει τη δραστική ουσία πεγκσετακοπλάνη.

Πώς χρησιμοποιείται το Aspaveli;

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται υπό την επίβλεψη επαγγελματία του τομέα της υγείας με εμπειρία στη διαχείριση διαταραχών που σχετίζονται με το αίμα.

Το Aspaveli χορηγείται με υποδόρια έγχυση (στάγδην χορήγηση) στην κοιλιά, τον μηρό ή τον βραχίονα. Χορηγείται δύο φορές την εβδομάδα (τις ημέρες 1 και 4).

Οι ασθενείς πρέπει να συνεχίσουν να λαμβάνουν τον αναστολέα C5 τους για 4 εβδομάδες μετά την έναρξη της θεραπείας με Aspaveli προτού διακόψουν τη θεραπεία με τον αναστολέα C5.

Μετά από κατάλληλη εκπαίδευση, οι ασθενείς έχουν τη δυνατότητα αυτοχορήγησης του φαρμάκου.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Aspaveli, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.



Πώς δρα το Aspaveli;

Το Aspaveli αποτελείται από δύο συνθετικά πεπτίδια (μικρές αλυσίδες αμινοξέων) που συνδέονται μεταξύ τους, τα οποία στοχεύουν και προσκολλώνται στην πρωτεΐνη C3 του συμπληρώματος, η οποία αποτελεί μέρος του αμυντικού συστήματος του οργανισμού που ονομάζεται «σύστημα του συμπληρώματος».

Στους ασθενείς με ΠΝΑ οι πρωτεΐνες του συμπληρώματος είναι υπερδραστικές με αποτέλεσμα να προκαλείται βλάβη στα κύτταρα των ασθενών. Το Aspaveli, αναστέλλοντας τη δράση της πρωτεΐνης C3 του συμπληρώματος, προλαμβάνει τη βλάβη που προκαλούν οι πρωτεΐνες του συμπληρώματος στα κύτταρα, συμβάλλοντας με αυτόν τον τρόπο στην ανακούφιση από τα συμπτώματα της νόσου.

Ποια είναι τα οφέλη του Aspaveli σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Aspaveli αποδείχθηκε αποτελεσματικό στην πρόληψη της διάσπασης της αιμοσφαιρίνης και στην αύξηση των επιπέδων της στο αίμα σε ασθενείς με ΠΝΑ οι οποίοι είχαν λάβει θεραπεία με εκουλιζουμάμνη επί τουλάχιστον 3 μήνες αλλά εξακολουθούσαν να είναι αναιμικοί.

Η κύρια μελέτη διενεργήθηκε σε 80 ασθενείς με ΠΝΑ οι οποίοι λάμβαναν εκείνη την χρονική περίοδο θεραπεία με εκουλιζουμάμνη, έναν αναστολέα C5, αλλά εξακολουθούσαν να είναι αναιμικοί (επίπεδα αιμοσφαιρίνης <10,5 g/dL) παρά τη συγκεκριμένη θεραπεία. Οι ασθενείς είτε μεταπήδησαν σε θεραπεία με Aspaveli είτε συνέχισαν τη θεραπεία τους με εκουλιζουμάμνη. Μετά από 16 εβδομάδες, τα επίπεδα αιμοσφαιρίνης στους ασθενείς που έλαβαν Aspaveli αυξήθηκαν κατά μέσο όρο κατά 2,37 g/dl, ενώ μειώθηκαν κατά 1,47 g/dl κατά μέσο όρο στους ασθενείς που συνέχισαν να λαμβάνουν εκουλιζουμάμνη. Κατά τη διάρκεια αυτής της περιόδου, 6 από τα 41 άτομα που έλαβαν Aspaveli χρειάστηκαν μετάγγιση αίματος, σε σύγκριση με 33 από τα 39 άτομα που έλαβαν θεραπεία με εκουλιζουμάμνη.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Aspaveli;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Aspaveli (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι αντιδράσεις στο σημείο της ένεσης (ερυθρότητα του δέρματος, κνησμός, οίδημα και πόνος στο σημείο της ένεσης), λοίμωξη του ανώτερου αναπνευστικού συστήματος, κοιλιακό άλγος, διάρροια, κεφαλαλγία, κόπωση και πυρετός. Οι σοβαρότερες ανεπιθύμητες ενέργειες είναι αιμόλυση (διάσπαση των ερυθρών αιμοσφαιρίων) και θρομβοκυτταροπενία (χαμηλά επίπεδα αιμοπεταλίων), που ενδέχεται να εμφανιστούν σε έως και 1 στους 10 ασθενείς.

Βάσει του μηχανισμού δράσης του, το Aspaveli ενδέχεται να αυξήσει τον κίνδυνο λοιμώξεων. Το Aspaveli δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς με εν εξελίξει λοίμωξη προκαλούμενη από ορισμένα βακτήρια γνωστά ως ενθυλακωμένα βακτήρια, συμπεριλαμβανομένων των *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* και *Haemophilus influenzae*. Επίσης, δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς που δεν έχουν επί του παρόντος εμβολιαστεί κατά της λοίμωξης από τα εν λόγω βακτήρια. Τα άτομα που εμβολιάζονται πρέπει να λαμβάνουν τα κατάλληλα αντιβιοτικά για να μειωθεί ο κίνδυνος λοίμωξης για δύο εβδομάδες μετά τον εμβολιασμό.

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Aspaveli στην ΕΕ;

Το Aspaveli αποδείχθηκε αποτελεσματικό στην αύξηση των επιπέδων αιμοσφαιρίνης στο αίμα σε ασθενείς με ΠΝΑ οι οποίοι είχαν λάβει θεραπεία με εκουλιζουμάμνη επί τουλάχιστον 3 μήνες αλλά εξακολουθούσαν να είναι αναιμικοί. Επίσης, μείωσε την ανάγκη μεταγγίσεων αίματος σε αυτούς τους ασθενείς. Σε ό,τι αφορά την ασφάλεια, παρότι τα δεδομένα σχετικά με την ασφάλεια είναι περιορισμένα

λόγω του μικρού αριθμού ασθενών που μετείχαν στην κύρια μελέτη, οι ανεπιθύμητες ενέργειες του Aspaveli θεωρούνται διαχειρίσιμες, λαμβανομένων υπόψη των εφαρμοζόμενων μέτρων ελαχιστοποίησης κινδύνου.

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Aspaveli υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Aspaveli;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Aspaveli θα διασφαλίσει ότι η διανομή του φαρμάκου πραγματοποιείται μόνο αφού ελεγχθεί ότι ο ασθενής έχει εμβολιαστεί καταλλήλως. Η εταιρεία θα ενημερώνει επίσης τους συνταγογραφούντες και τους ασθενείς σχετικά με την ασφάλεια του φαρμάκου και θα αποστέλλει υπενθυμίσεις στους συνταγογραφούντες και τους φαρμακοποιούς για να ελέγχουν εάν υπάρχει ανάγκη επαναληπτικού εμβολιασμού στους ασθενείς που λαμβάνουν Aspaveli. Στους ασθενείς θα δοθεί επίσης ειδική κάρτα, στην οποία εξηγούνται τα συμπτώματα ορισμένων τύπων λοιμώξεων και δίνονται οδηγίες στους ασθενείς να αναζητήσουν άμεσα ιατρική βοήθεια εάν εμφανίσουν κάποιο από τα συμπτώματα.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Aspaveli.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Aspaveli τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Aspaveli θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Aspaveli

Περισσότερες πληροφορίες για το Aspaveli διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση

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