



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/51587/2024
EMA/H/C/005553

Aspaveli (*pegcetacoplan*)

Az Aspaveli-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Aspaveli és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Aspaveli paroxizmális nokturnális hemoglobinuriában (PNH) szenvedő felnőttek kezelésére alkalmazott gyógyszer. Erre a szerzett betegségre az jellemző, hogy a vörösvérsejtek túl nagy mértékben bomlanak le (hemolízis), így nagy mennyiségű hemoglobin (a vörösvérsejtekben található fehérje, amely a szervezetben az oxigént szállítja) kerül a vizeletbe. Az Aspaveli-t olyan, PNH-ban szenvedő betegeknél alkalmazzák, akiknél a hemolízis miatt vérszegénység (a vörösvérsejtek alacsony szintje) áll fenn.

Mivel a paroxizmális nokturnális hemoglobinuria „ritkának” minősül, ezért az Aspaveli-t 2017. május 22-én „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Az Aspaveli hatóanyaga a pegcetacoplan.

Hogyan kell alkalmazni az Aspaveli-t?

A gyógyszer csak receptre kapható. A kezelést a vérrendellenességek kezelésében tapasztalt egészségügyi szakember felügyelete mellett kell megkezdeni.

Az Aspaveli-t a has, a comb, a csípő vagy a felkar bőre alá kell cseppinfúzióban beadni. A gyógyszert hetente kétszer (az 1. és a 4. napon) kell alkalmazni. Amennyiben a kezelőorvos azt megfelelőnek ítéli, a betegek betanítást követően maguknak is beadhatják a cseppinfúziót. Hacsak nincs klinikai ok a kezelés leállítására, az Aspaveli-t egész életen át kell alkalmazni.

Az Aspaveli alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



Hogyan fejtí ki hatását az Aspaveli?

Az Aspaveli hatóanyaga, a pegcetacoplan, két szintetikus peptidből (rövid aminosav-láncokból) áll, amelyek egymáshoz kapcsolódnak. A C3 komplement fehérjéhez kötődik, amely az immunrendszer (a szervezet természetes védekező rendszere), az úgynevezett „komplementrendszer” részét képezi.

A PNH-ban szenvedő betegeknél a komplement fehérjék túlzottan aktívak, és károsítják a betegek saját sejtjeit. A C3 komplement fehérjék gátlásával az Aspaveli megakadályozza, hogy a komplement fehérjék károsítsák a sejtet, így enyhíti a PNH tüneteit.

Milyen előnyei voltak az Aspaveli alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az Aspaveli hatásosnak bizonyult a vörösvérsejtek lebomlásának megelőzésében és a hemoglobin vérszintjének növelésében egy vizsgálatban, amelyben olyan, PNH-ban szenvedő betegek vettek részt, akiket legalább 3 hónapig ekulizumabbal kezeltek, de vérszegénységük továbbra is fennállt.

A vizsgálatot 80, PNH-ban szenvedő beteg részvételével végezték, akiket éppen ekulizumabbal, egy komplement inhibitorként ismert gyógyszerrel kezeltek, de vérszegénységük (hemoglobinszint <10,5 g/dl) a kezelés ellenére továbbra is fennállt. A betegeket vagy Aspaveli-re állították, vagy folytatták az ekulizumabbal végzett kezelésüket. 16 hét elteltével az Aspaveli-vel kezelt betegek hemoglobinszintje átlagosan 2,37 g/dl-rel emelkedett, míg az ekulizumabbal kezelt betegeknél átlagosan 1,47 g/dl-rel csökkent. Ebben az időszakban az Aspaveli-vel kezelt 41 beteg közül 6-nak volt szüksége vérátömlesztésre, míg az ekulizumabbal kezelt 39 beteg közül 33-nak.

Egy második vizsgálatban az Aspaveli alkalmazását 53, PNH-ban szenvedő olyan betegnél értékelték, akik nem kaptak komplement inhibitor a vizsgálatot megelőző 3 hónapban. Az Aspaveli a vörösvérsejtek lebomlásának szabályozásában és a hemoglobinszint stabilizálásában hatékonyabb volt, mint a támogató kezelés (a betegség tüneteinek megelőzésére vagy enyhítésére alkalmazott kezelés). 26 hét kezelést követően az Aspaveli-vel kezelt betegek körülbelül 86%-ánál (35 betegből 30), míg a támogató kezelést kapott betegek egyikénél sem (18 betegből 0) stabilizálódott a hemoglobinszint (azaz vérátömlesztés nélkül nem csökkent több mint 1 g/dl-rel).

A vizsgálatban értékelték továbbá a kezelés hatását a laktát-dehidrogenáz (LDH; a vörösvérsejtek lebomlásakor növekvő szöveti károsodás markere) vérszintjére. 26 hét elteltével az Aspaveli-vel kezelt betegeknél az LDH-szint átlagosan 1870 egység/l-rel csökkent, szemben a támogató kezelést kapott betegeknél mért átlagos 400 egység/l-es csökkenéssel. Ebben az időszakban az Aspaveli-t kapók körülbelül 91%-ának (35 betegből 32-nek), míg a támogató kezelésben részesülők 6%-ának (18 betegből 1-nek) nem volt szüksége vérátömlesztésre.

Milyen kockázatokkal jár az Aspaveli alkalmazása?

A mellékhatások és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Aspaveli leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) az injekció beadásának helyén jelentkező reakciók (a bőr kivörösödése, viszketés, duzzanat, véralfutás és helyi fájdalom), a felső légúti fertőzés (orr- és torokfertőzés), a hasi fájdalom, a hasmenés, a hemolízis, a fejfájás, a fáradtság, a láz, a köhögés, a húgyúti fertőzés, a végtagfájdalom, a szédülés, az ízületi és hátfájás, valamint az oltási szövődmények. A legsúlyosabb mellékhatások közé tartozik a hemolízis (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) és a szepszis (vérmérgezés; amely 10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet).

Hatásmechanizmusa alapján az Aspaveli növelheti a fertőzések kockázatát. Az Aspaveli nem alkalmazható olyan betegeknél, akiknél jelenleg úgynevezett tokos baktériumok, például a *Neisseria*

meningitidis, a *Streptococcus pneumoniae* vagy a *Haemophilus influenzae* által okozott fertőzés áll fenn. A gyógyszer azoknál a betegeknél sem alkalmazható, akik jelenleg nincsenek beoltva e baktériumok ellen, kivéve, ha megfelelő antibiotikumokat szednek a fertőzés kockázatának csökkentésére az oltást követő két héten keresztül.

Miért engedélyezték az Aspaveli forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Aspaveli hatásos a vér hemoglobinszintjének növelésében olyan, PNH-ban szenvedő betegeknél, akiket legalább 3 hónapig ekulizumabbal kezeltek, de vérszegénységük továbbra is fennállt. Az Aspaveli továbbá hatékonyabb volt a PNH támogató kezelésénél a hemoglobinszint stabilizálásában és a vörösvérsejtek lebomlásának szabályozásában azoknál a betegeknél, akiket legalább 3 hónapig nem kezeltek komplement inhibitorral. A gyógyszer csökkentette a vérátömlesztés szükségességét is a PNH-ban szenvedő betegeknél. Ugyanakkor a komplement inhibitorokkal legalább 3 hónapig nem kezelt betegekkel végzett vizsgálat elrendezésével kapcsolatos bizonytalanságok korlátozták az Aspaveli előnyeinek és kockázatainak értékelését ezeknél a betegeknél.

A biztonságosságot illetően, bár a biztonságossági adatok a fő vizsgálatokba bevont betegek kis száma miatt korlátozottak, az Aspaveli mellékhatásai az érvényben lévő kockázatminimalizáló intézkedésekre figyelemmel kezelhetőnek tekinthetők.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Aspaveli alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Aspaveli biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Aspaveli-t forgalmazó vállalat gondoskodik arról, hogy a gyógyszer kiadására csak annak ellenőrzése után kerüljön sor, hogy a beteget megfelelően beoltották. A vállalat a gyógyszert felíró orvosok és a betegek számára a gyógyszer biztonságosságáról is tájékoztatást fog nyújtani, valamint emlékeztetőt küld a gyógyszert felíró orvosoknak és a gyógyszerészeknek, hogy ellenőrizzék, az Aspaveli-vel kezelt betegeknél szükség van-e további oltásra. A betegek egy speciális kártyát is kapnak, amely elmagyarázza bizonyos fertőzéstípusok tüneteit, valamint azt, hogy azonnal forduljanak orvoshoz, ha ezeket tapasztalják.

Az Aspaveli biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Aspaveli alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Aspaveli alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Aspaveli-vel kapcsolatos egyéb információ

2021. december 13-án az Aspaveli az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

Az Aspaveli-vel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 02-2024.