



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (*pegcetakoplan*)

Pregled zdravila Aspaveli in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Aspaveli in za kaj se uporablja?

Aspaveli je zdravilo, ki se uporablja pri odraslih za zdravljenje paroksizmalne nočne hemoglobinurije (PNH), tj. pridobljene bolezni, pri kateri pride do prekomerne razgradnje rdečih krvnih celic (hemolize), kar povzroči, da se v urin sprosti velika količina hemoglobina (beljakovine v rdečih krvnih celicah, ki po telesu prenaša kisik). Zdravilo Aspaveli se uporablja pri bolnikih s PNH, ki imajo anemijo (nizke ravni rdečih krvnih celic) zaradi hemolize.

Paroksizmalna nočna hemoglobinurija je redka, zato je bilo zdravilo Aspaveli 22. maja 2017 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o zdravilih sirotah so na voljo tukaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Zdravilo Aspaveli vsebuje učinkovino pegcetakoplan.

Kako se zdravilo Aspaveli uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept. Zdravljenje je treba uvesti pod nadzorom zdravstvenega delavca, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolezni krvi.

Zdravilo Aspaveli se daje z infundiranjem (kapalno infuzijo) v podkožje trebuha, stegna, bokov ali nadlakti. Daje se dvakrat na teden (prvi in četrti dan). Bolniki si lahko zdravilo injicirajo sami, če zdravnik meni, da je to primerno, in so bili za to ustrezno usposobljeni. Zdravljenje z zdravilom Aspaveli se nadaljuje vse življenje, razen če obstaja klinični razlog za prekinitev.

Za več informacij glede uporabe zdravila Aspaveli glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Aspaveli deluje?

Učinkovina v zdravilu Aspaveli, pegcetakoplan, je sestavljena iz dveh medsebojno povezanih sintetičnih peptidov (kratkih verig aminokislin). Le-ta se vežeta na beljakovino komplementa C3, ki je del imunskega sistema (naravnega obrambnega mehanizma telesa), imenovanega „sistem komplementa“.

Pri bolnikih s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo so beljakovine komplementa čezmerno dejavne, kar poškoduje bolnikove lastne celice. Zdravilo Aspaveli z zaviranjem beljakovine komplementa C3 preprečuje, da bi njegove beljakovine poškodovale celice, kar pomaga lajšati simptome PNH.

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



Kakšne koristi zdravila Aspaveli so se pokazale v študijah?

Zdravilo Aspaveli se je izkazalo za učinkovito pri preprečevanju razgradnje rdečih krvnih celic in zviševanju ravni hemoglobina v krvi v študiji, v katero so bili vključeni bolniki s PNH, ki so se vsaj tri mesece zdravili z ekulizumabom, vendar so bili še vedno anaemični.

Študija je bila izvedena pri 80 bolnikih s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo, ki se trenutno zdravijo z ekulizumabom, zdravilom, znanim kot inhibitor komplementa, vendar so kljub temu zdravljenju še vedno imeli anemijo (raven hemoglobina <10,5 g/dl). Bolniki so bodisi prešli na zdravilo Aspaveli bodisi nadaljevali zdravljenje z ekulizumabom. Po 16 tednih so se ravni hemoglobina pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Aspaveli, v povprečju zvišale za 2,37 g/dl, medtem ko so se pri bolnikih, ki so se še vedno zdravili z ekulizumabom, v povprečju znižale za 1,47 g/dl. V tem obdobju je transfuzijo krvi potrebovalo 6 od 41 bolnikov, ki so prejeli zdravilo Aspaveli, v primerjavi s 33 od 39 bolnikov, zdravljenih z ekulizumabom.

V drugi študiji je bila ocenjena uporaba zdravila Aspaveli pri 53 bolnikih s PNH, ki v treh mesecih pred študijo niso prejeli zaviralca komplementa. Zdravilo Aspaveli je bilo pri nadzoru razgradnje rdečih krvnih celic in stabilizaciji ravni hemoglobina učinkovitejše od podpornega zdravljenja (zdravljenja za preprečevanje ali lajšanje simptomov bolezni). Po 26 tednih zdravljenja so se ravni hemoglobina ustalile (kar pomeni, da se niso znižale za več kot 1 g/dl, ne da bi bolnik prejel transfuzijo krvi) pri približno 86 % (30 od 35) bolnikov, zdravljenih z zdravilom Aspaveli, v primerjavi z nobenim (0 od 18) bolnikom, zdravljenim s podpornim zdravljenjem.

V študiji je bil ocenjen tudi učinek zdravljenja na ravni laktat dehidrogenaze v krvi (LDH; označevalec poškodb tkiva, ki se poveča ob razgradnji rdečih krvnih celic). Po 26 tednih so se pri bolnikih, ki so se zdravili z zdravilom Aspaveli, ravni LDH povprečno znižale za 1 870 enot/l, pri bolnikih, ki so se zdravili s podpornim zdravljenjem, pa za 400 enot/l. V tem obdobju približno 91 % (32 od 35) bolnikov, ki so prejeli zdravilo Aspaveli, ni potrebovalo transfuzije, v primerjavi s 6 % (1 od 18) bolnikov, ki so prejeli podporno zdravljenje.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Aspaveli?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Aspaveli (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) vključujejo reakcije na mestu injiciranja (pordelost kože, srbenje, otekanje, modrice in bolečine na mestu injiciranja), okužbo zgornjih dihal (nosu in grla), bolečine v trebuhu, drisko, hemolizo, glavobol, utrujenost, povišano telesno temperaturo, kašelj, okužbo sečil, bolečine v okončinah (rokah ali nogah), omotico, bolečine v sklepih in hrbtu ter zaplete s cepljenjem. Najresnejši neželeni učinki vključujejo hemolizo (ki se lahko pojavi pri več kot 1 od 10 bolnikov) in sepsu (zastrupitev krvi, ki se lahko pojavi pri največ 1 od 10 bolnikov).

Zdravilo Aspaveli lahko na podlagi svojega mehanizma delovanja poveča tveganje za okužbe. Zdravilo Aspaveli se ne sme uporabljati pri bolnikih z obstoječo okužbo, ki jo povzročajo določene bakterije, znane kot inkapsulirane bakterije, vključno z bakterijami *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* in *Haemophilus influenzae*. Prav tako se ne sme uporabljati pri bolnikih, ki trenutno niso cepljeni proti tem bakterijam, razen če dva tedna po cepljenju jemljejo ustrezne antibiotike za zmanjšanje tveganja okužbe.

Zakaj je bilo zdravilo Aspaveli odobreno v EU?

Zdravilo Aspaveli je učinkovito pri zviševanju ravni hemoglobina v krvi pri bolnikih s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo, ki so se z ekulizumabom zdravili vsaj tri mesece, vendar so bili še vedno

anemični. Zdravilo Aspaveli je bilo učinkovitejše od podpornega zdravljenja za paroksizmalno nočno hemoglobinurijo pri stabilizaciji ravni hemoglobina in uravnavanju razgradnje rdečih krvnih celic pri bolnikih, ki se z zaviralci komplementa niso zdravili vsaj tri mesece. Prav tako je zmanjšalo potrebo po transfuziji krvi pri bolnikih s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo. Vendar pa je zaradi negotovosti, povezanih z zasnovo študije, pri bolnikih, ki se vsaj tri mesece niso zdravili z zaviralci komplementa, ocena koristi in tveganja zdravila Aspaveli pri teh bolnikih omejena.

Čeprav so podatki o varnosti zaradi majhnega števila bolnikov, vključenih v glavne študije, omejeni, veljajo neželeni učinki zdravila Aspaveli ob upoštevanju vzpostavljenih ukrepov za zmanjševanje tveganja za obvladljive.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Aspaveli večje od z njim povezanih tveganj in se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Aspaveli?

Podjetje, ki trži zdravilo Aspaveli, bo zagotovilo, da se lahko zdravilo izda šele potem, ko se preveri, ali je bil bolnik ustrezno cepljen. Zdravnikom, ki predpisujejo zdravilo, in bolnikom bo podjetje priskrbelo tudi informacije o varnosti zdravila ter poslalo opomnike zdravnikom, ki predpisujejo zdravilo, in farmacevtom, da preverijo, ali je za bolnike, ki prejemajo zdravilo Aspaveli, potrebno kakršno koli nadaljnje cepljenje. Bolniki bodo prejeli tudi posebno kartico, ki vsebuje razlago simptomov določenih vrst okužb, in navodilo, naj ob pojavu teh simptomov nemudoma poiščejo medicinsko pomoč.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Aspaveli upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Aspaveli stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Aspaveli, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Aspaveli

Za zdravilo Aspaveli je bilo 13. decembra 2021 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Aspaveli so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 02–2024.