



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Aspaveli (*pegcetakoplan*)

Sammanfattning av Aspaveli och varför det är godkänt inom EU

### Vad är Aspaveli och vad används det för?

Aspaveli är ett läkemedel som ges till vuxna för att behandla paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH), en förvärvad sjukdom där en onormalt stor nedbrytning av röda blodkroppar (hemolys) leder till att stora mängder hemoglobin (proteinet i röda blodkroppar som transporterar runt syre i kroppen) frigörs i urinen. Aspaveli ges till patienter med PNH som har anemi (låga nivåer av röda blodkroppar) på grund av hemolys.

Paroxysmal nokturn hemoglobinuri är sällsynt och Aspaveli klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 22 maj 2017. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns här: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873).

Läkemedlet innehåller den aktiva substansen pegcetakoplan.

### Hur används Aspaveli?

Läkemedlet är receptbelagt. Behandlingen ska inledas under övervakning av hälso- och sjukvårdspersonal med erfarenhet av behandling av blodrelaterade sjukdomar.

Aspaveli ges som en infusion (dropp) under huden i buken, låren, höfterna eller överarmarna. Den ges två gånger i veckan (dag 1 och 4). Patienterna kan ge sig själva droppbehandlingen om läkaren anser det lämpligt och de har fått lära sig hur man gör. Om det inte finns något kliniskt skäl till att avbryta fortsätter behandlingen med Aspaveli livet ut.

För mer information om hur du använder Aspaveli, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

### Hur verkar Aspaveli?

Den aktiva substansen i Aspaveli, pegcetakoplan, består av två syntetiska peptider (korta kedjor av aminosyror) som är sammankopplade. Pegcetakoplan binder till komplementproteinet C3, som ingår i den del av immunsystemet (kroppens naturliga försvar) som kallas "komplementsystemet".

---

**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](https://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](https://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Hos patienter med PNH är komplementproteinerna överaktiva och skadar patienternas egna celler. Genom att blockera C3-komplementproteinet förhindrar Aspaveli att komplementproteinerna skadar cellerna och lindrar på så sätt symtomen på PNH.

## Vilka fördelar med Aspaveli har visats i studierna?

Aspaveli visade sig vara effektivt när det gäller att förhindra nedbrytningen av röda blodkroppar och öka hemoglobinnivåerna i blodet i en studie med patienter med PNH som behandlats med ekulizumab under minst tre månader men fortfarande hade anemi.

Studien genomfördes på 80 patienter med PNH som behandlades med läkemedlet ekulizumab, som är en komplementhämmare, men som fortfarande hade anemi (hemoglobinnivå < 10,5 g/dl) trots denna behandling. Patienterna bytte antingen till Aspaveli eller fortsatte med sin behandling med ekulizumab. Efter 16 veckor ökade hemoglobinnivåerna hos patienter som fick Aspaveli i genomsnitt med 2,37 g/dl, medan den i genomsnitt minskade med 1,47 g/dl hos patienter som fortsatte att behandlas med ekulizumab. Under denna period behövde 6 av 41 patienter som fick Aspaveli blodtransfusion, jämfört med 33 av 39 patienter som behandlades med ekulizumab.

I en andra studie utvärderades användningen av Aspaveli hos 53 patienter med PNH som inte hade fått någon komplementhämmare under de tre månader som föregick studien. Aspaveli var effektivare än understödjande vård (behandling för att förebygga eller lindra symtomen på sjukdomen) när det gällde att kontrollera nedbrytningen av röda blodkroppar och stabilisera hemoglobinnivåerna. Efter 26 veckors behandling hade hemoglobinnivåerna stabiliserats (vilket innebär att de inte minskade med mer än 1 g/dl utan att patienten hade en blodtransfusion) hos omkring 86 procent av patienterna som behandlades med Aspaveli (30 av 35), jämfört med ingen av dem som behandlades med understödjande vård (0 av 18).

I studien utvärderades även effekten av behandling på nivåerna av laktatdehydrogenas i blodet (LDH; en markör för vävnadsskada som ökar när de röda blodkropparna bryts ner). Efter 26 veckor hade patienterna som behandlades med Aspaveli en genomsnittlig minskning på 1,870 enheter/l av sina LDH-nivåer, jämfört med en genomsnittlig minskning på 400 enheter/l hos dem som behandlades med understödjande vård. Under denna period behövde omkring 91 procent av dem som fick Aspaveli (32 av 35) inte någon transfusion, jämfört med 6 procent av dem som fick understödjande vård (1 av 18).

## Vilka är riskerna med Aspaveli?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Aspaveli (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är reaktioner på injektionsstället (hudrodnad, klåda, svullnad, blåmärken och smärta), övre luftvägsinfektion (infektion i näsa och svalg), magont, diarré, hemolys, huvudvärk, trötthet, feber, hosta, urinvägsinfektion, smärta i extremiteterna (armar eller ben), yrsel, led- och ryggsmärta samt komplikationer av vaccination. De allvarligaste biverkningarna är hemolys (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) och sepsis (blodförgiftning, som kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare).

Baserat på sin verkningsmekanism kan Aspaveli öka risken för infektioner. Aspaveli får inte ges till patienter med pågående infektion orsakad av vissa bakterier som kallas inkapslade bakterier, såsom *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* och *Haemophilus influenzae*. Det får heller inte ges till patienter som för närvarande inte är vaccinerade mot dessa bakterier, såvida de inte tar lämplig antibiotika för att minska risken för infektion under två veckor efter vaccinationen.

## Varför är Aspaveli godkänt i EU?

Aspaveli är effektivt för att öka hemoglobinnivåerna i blodet hos patienter med PNH som fortsatte att ha anemi efter att ha behandlats med ekulizumab i minst tre månader. Aspaveli var också effektivare än understödjande vård för PNH när det gällde att stabilisera hemoglobinnivåerna och kontrollera nedbrytningen av röda blodkroppar hos patienter som inte hade behandlats med komplementhämmare under minst tre månader. Det minskade också behovet av blodtransfusioner hos patienter med PNH. Osäkerheter på grund av studiens utformning för patienter som inte hade behandlats med komplementhämmare under minst tre månader begränsade dock utvärderingen av fördelarna och riskerna med Aspaveli hos dessa patienter.

Vad gäller säkerheten anses Aspavelis biverkningar vara hanterbara med tanke på de insatta åtgärderna för riskminimering, även om uppgifterna om säkerhet är begränsade på grund av det låga antalet patienter i huvudstudierna.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Aspaveli är större än riskerna och att läkemedlet kan godkännas för försäljning i EU.

## Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Aspaveli?

Företaget som marknadsför Aspaveli ska se till att läkemedlet endast distribueras efter att man har kontrollerat att patienten har fått rätt vaccination. Företaget kommer även att förse förskrivande läkare och patienter med information om läkemedlets säkerhet och det kommer att skicka en påminnelse till förskrivande läkare och apotekspersonal om att kontrollera om patienterna som tar Aspaveli eventuellt behöver ytterligare vaccination. Patienterna ska också få ett särskilt kort som förklarar symtomen på vissa typer av infektioner och uppmanar patienterna att omedelbart söka läkarvård om de skulle råka ut för dem.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Aspaveli har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Aspaveli kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Aspaveli utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

## Mer information om Aspaveli

Den 13 december 2021 beviljades Aspaveli ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Aspaveli finns på EMA:s webbplats:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 02-2024.