



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (*pegcetacoplan*)

En oversigt over Aspaveli, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Aspaveli, og hvad anvendes det til?

Aspaveli er et lægemiddel til behandling af voksne og børn med paroksyttisk nokturn hæmoglobinuri (PNH), en sygdom, hvor der sker en øget nedbrydning af de røde blodlegemer (hæmolyse), hvilket medfører, at store mængder hæmoglobin (proteinet i de røde blodlegemer, som transporterer ilt rundt i kroppen) bliver udskilt i urinen. Aspaveli anvendes til patienter, som fortsat har anæmi (lavt antal røde blodlegemer) på trods af behandling med en type lægemiddel, der kaldes en C5-hæmmer, i mindst 3 måneder.

Paroksyttisk nokturn hæmoglobinuri er sjælden, og Aspaveli blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 22. maj 2017. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Aspaveli indeholder det aktive stof pegcetacoplan.

Hvordan anvendes Aspaveli?

Lægemidlet fås kun på recept. Behandlingen bør indledes under overvågning af en sundhedsperson med erfaring i behandling af blodrelaterede sygdomme.

Aspaveli gives som infusion (drop) under huden i maven, låret eller overarmen. Det gives to gange om ugen (på dag 1 og 4).

Patienterne bør fortsætte med at få deres C5-hæmmer i 4 uger efter påbegyndelse af behandlingen med Aspaveli, før behandlingen med C5-hæmmeren standses.

Patienterne kan give sig selv dropbehandlingen, når de er blevet instrueret i det.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Aspaveli, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Aspaveli?

Aspaveli består af to syntetiske peptider (korte kæder af aminosyrer), der er indbyrdes forbundet, og som er rettet mod og binder sig til komplementproteinet C3, som er en del af kroppens forsvarssystem, der kaldes "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

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

An agency of the European Union



Hos patienter med PNH er komplementproteinerne overaktive og skader patienternes egne celler. Ved at blokere komplementproteinet C3 forhindrer Aspaveli komplementproteiner i at beskadige celler og medvirker derved til at lindre symptomerne på denne sygdom.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Aspaveli?

Det blev påvist, at Aspaveli var effektivt til at forebygge nedbrydning af hæmoglobin og øge blodniveauerne hos patienter med PNH, som var blevet behandlet med eculizumab i mindst tre måneder, men som stadig havde anæmi.

Hovedstudiet blev udført hos 80 patienter med PNH, som på nuværende tidspunkt behandles med eculizumab, en C5-hæmmer, men som fortsat havde anæmi (hæmoglobinniveau < 10,5 g/dl) på trods af denne behandling. Patienterne skiftede enten til Aspaveli eller fortsatte deres behandling med eculizumab. Efter 16 uger steg hæmoglobinniveauet hos patienter, der fik Aspaveli, i gennemsnit med 2,37 g/dl, mens det faldt med 1,47 g/dl hos patienter, der stadig blev behandlet med eculizumab. I denne periode havde 6 ud af 41 personer, der fik Aspaveli, brug for en blodtransfusion, sammenlignet med 33 ud af 39, der blev behandlet med eculizumab.

Hvilke risici er der forbundet med Aspaveli?

De hyppigste bivirkninger ved Aspaveli (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er reaktioner på injektionsstedet (rødme, kløe, hævelse og smerter på injektionsstedet), infektion i de øvre luftveje, mavesmerter, diarré, hovedpine, træthed og feber. De alvorligste bivirkninger er hæmolyse (nedbrydning af røde blodlegemer) og trombocytopeni (lavt antal blodplader), der kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer.

På grund sin virkningsmekanisme kan Aspaveli øge risikoen for infektioner. Aspaveli må ikke anvendes til patienter med igangværende infektion forårsaget af visse bakterier, der kaldes indkapslede bakterier, herunder *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* og *Haemophilus influenzae*. Det må heller ikke anvendes hos patienter, der ikke på nuværende tidspunkt er vaccineret mod infektion med disse bakterier. Personer, der bliver vaccineret, skal tage passende antibiotika i to uger efter vaccinationen for at mindske risikoen for infektion.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor er Aspaveli godkendt i EU?

Aspaveli viste sig at være effektivt til at øge hæmoglobinniveauet i blodet hos patienter med PNH, som var blevet behandlet med eculizumab i mindst 3 måneder, men som stadig havde anæmi. Det mindskede også behovet for blodtransfusioner hos disse patienter. Hvad sikkerheden angår, anses bivirkningerne ved Aspaveli for at være håndterbare i betragtning af de iværksatte risikominimeringsforanstaltninger, selv om sikkerhedsdataene er begrænsede på grund af det lille antal patienter i hovedstudiet.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Aspaveli opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Aspaveli?

Den virksomhed, der markedsfører Aspaveli, vil sørge for, at lægemidlet først udleveres, når det er fastslået, at patienten er blevet korrekt vaccineret. Virksomheden vil også forsyne de ordinerende læger og patienterne med oplysninger om lægemidlets sikkerhed og sende påmindelser til de

ordinerende læger og apotekerne om at kontrollere, om yderligere vaccination er nødvendig for patienter, der tager Aspaveli. Patienterne vil også få udleveret et særligt kort, der beskriver symptomerne ved vise typer infektioner og instruerer patienterne i straks at søge lægehjælp, hvis de oplever disse symptomer.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Aspaveli.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Aspaveli løbende overvåget. Formodede bivirkninger ved Aspaveli vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Aspaveli

Yderligere information om Aspaveli findes på agenturets websted under:

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