



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (pegtsetakoplaan)

Ülevaade ravimist Aspaveli ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Aspaveli ja milleks seda kasutatakse?

Aspaveli on ravim, millega ravitakse täiskasvanuid, kellel on paroksüsmaalne öine hemoglobiinuuria. See on seisund, mille korral esineb vere punaliblede liigne lagunemine (hemolüüs), mille tulemusena vabaneb uriini suures koguses hemoglobiini (vere punaliblede valk, mis kannab hapnikku organismis laiali). Aspaveli kasutatakse patsientidel, kellel on aneemia (erütrotsüütide ehk vere punaliblede vähesus) vaatamata ravile C5-inhibiitoriga vähemalt 3 kuud.

Paroksüsmaalne öine hemoglobiinuuria esineb harva ja Aspaveli nimetati 22. mail 2017 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Aspaveli sisaldab toimeainena pegtsetakoplaani.

Kuidas Aspaveli kasutatakse?

Aspaveli on retseptiravim. Ravi peab alustama verehäirete ravis kogenud tervishoiutöötaja ja see peab toimuma tema järelevalve all.

Aspaveli manustatakse nahaaluse infusioonina kõhtu, reide või õlavarde. Seda manustatakse kaks korda nädalas (1. ja 4. päeval).

Patsiendid peavad jätkama C5-inhibiitori kasutamist 4 nädala jooksul pärast Aspaveli-ravi alustamist ja enne C5-inhibiitori kasutamise lõpetamist.

Patsiendid võivad ravimit pärast nõuetekohast juhendamist endale ise manustada.

Lisateavet Aspaveli kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Aspaveli toimib?

Aspaveli koosneb kahest omavahel seotud sünteetilisest peptiidist (lühikesed aminohapete ahelad), mis seonduvad C3-komplementvalguga, mis on osa organismi kaitsesüsteemist, mida nimetatakse komplemendisüsteemiks.

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



Paroksüsmaalse öise hemoglobiinuuriaga patsientidel on komplementvalgud üliaktiivsed ja kahjustavad patsiendi enda rakke. C3-komplementvalku blokeerides takistab Aspaveli komplementvalke rakke kahjustamast, leevendades nii haiguse sümptomeid.

Milles seisneb uuringute põhjal Aspaveli kasulikkus?

Aspaveli oli tõendatult efektiivne hemoglobiini lagunemise ennetamisel ja selle sisalduse suurendamisel veres paroksüsmaalse öise hemoglobiinuuriaga patsientidel, keda oli vähemalt 3 kuud ravitud ekulisumaabiga, kuid kes olid veel aneemilised.

Põhiuuringus osales 80 paroksüsmaalse öise hemoglobiinuuriaga patsienti, keda raviti ekulisumaabiga (C5 inhibiitor), kuid kes olid ravist hoolimata jätkuvalt aneemilised (hemoglobiinisaldus < 10,5 g/dl). Patsiendid viidi üle kas ravile Aspaveliga või nad jätkasid ravi ekulisumaabiga. 16 nädala pärast suurenes Aspaveli kasutanud patsientidel hemoglobiinisaldus keskmiselt 2,37 g/dl võrra ja ekulisumaabiga ravitud patsientidel vähenes see keskmiselt 1,47 g/dl võrra. Selle perioodi jooksul vajas vereülekannt 6 Aspaveli saanud 41 patsiendist ja 33 ekulisumaabiga ravitud 39 patsiendist.

Mis riskid Aspaveliga kaasnevad?

Aspaveli kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on süstekoha reaktsioonid (nahapunetus, sügelus, turse ja valu süstekohal), ülemiste hingamisteede infektsioonid, kõhuvalu, kõhulahtisus, peavalu, väsimus ja palavik. Kõige raskemad kõrvalnähud on hemolüüs (erütrotsüütide ehk vere punaliblede lagunemine) ja trombotsütopeenia (trombotsüütide ehk vereliistakute vähesus), mis võivad esineda kuni 1 patsiendil 10st.

Toimemehhanismi alusel võib Aspaveli suurendada infektsioonide riski. Aspaveli ei tohi kasutada patsiendid, kellel on infektsioon, mida põhjustavad teatud bakterid, mida nimetatakse kapseldunud bakteriteks, sh *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* ja *Haemophilus influenzae*. Seda ei tohi kasutada ka patsiendid, kes ei pole vaksineeritud nende bakterite põhjustatud infektsioonide vastu. Kahe nädala jooksul pärast vaksineerimist tuleb võtta asjakohaseid antibiootikume, et vähendada infektsiooniriski.

Kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Aspaveli ELis heaks kiideti?

Aspaveli oli tõendatult efektiivne vere hemoglobiinisalduse suurendamisel paroksüsmaalse öise hemoglobiinuuriaga patsientidel, keda oli vähemalt 3 kuud ravitud ekulisumaabiga, kuid kes olid veel aneemilised. Samuti vähendas ravim neil patsientidel vereülekanntede vajadust. Kuigi ohutusandmed on põhiuuringus osalenud patsientide väikese arvu tõttu piiratud, peetakse Aspaveli kõrvalnähte hallatavaks, arvestades olemasolevaid riskivähendusmeetmeid.

Euroopa Raviamet otsustas, et Aspaveli kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Aspaveli ohutu ja efektiivne kasutamine?

Aspaveli turustaja tagab ravimi levitamise alles pärast seda, kui on kontrollitud patsiendi nõuetekohast vaksineerimist. Tootja annab ka Aspaveli ravi määravatele meditsiinitöötajatele ja patsientidele ravimi ohutusteabe ning saadab ravi määravatele meditsiinitöötajatele ja apteekritele meeldetuletuse, et on vaja kontrollida, kas Aspaveli kasutavad patsiendid vajavad korduvvaksineerimist. Aspaveli kasutavatele patsientidele tuleb anda hoiatuskaart, kus kirjeldatakse teatud tüüpi infektsioonide sümptomeid ja selgitatakse, et nende tekkimisel tuleb otsekohe arsti poole pöörduda.

Aspaveli ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, tehakse Aspaveli kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Aspaveli kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Aspaveli kohta

Lisateave Aspaveli kohta on ameti veebilehel:

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