



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (*pegcetakoplan*)

Pregled informacija o lijeku Aspaveli i zašto je odobren u EU-u

Što je Aspaveli i za što se koristi?

Aspaveli je lijek za liječenje odraslih osoba s paroksizmalnom noćnom hemoglobinurijom (PNH), stanjem u kojem dolazi do prekomjerne razgradnje crvenih krvnih stanica (hemoliza), što dovodi do otpuštanja velikih količina hemoglobina (proteina u crvenim krvnim stanicama koji prenosi kisik kroz tijelo) u urin. Aspaveli se primjenjuje u bolesnika koji i dalje imaju anemiju (niske razine crvenih krvnih stanica) tijekom najmanje tri mjeseca unatoč liječenju vrstom lijeka koja se naziva inhibitor C5.

Paroksizmalna noćna hemoglobinurija rijetka je bolest, a lijek Aspaveli dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 22. svibnja 2017. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Aspaveli sadrži djelatnu tvar pegcetakoplan.

Kako se Aspaveli primjenjuje?

Lijek se izdaje samo na recept. Liječenje se mora započeti pod nadzorom zdravstvenog radnika s iskustvom u liječenju poremećaja povezanih s krvlju.

Aspaveli se primjenjuje infuzijom (ukapavanjem) pod kožu trbuha, bedra ili nadlaktice. Primjenjuje se dvaput tjedno (1. i 4. dan).

Bolesnici trebaju nastaviti primati inhibitor C5 tijekom četiri tjedna nakon početka liječenja lijekom Aspaveli prije nego što prestanu uzimati inhibitor C5.

Bolesnici si mogu sami davati infuziju nakon što prođu odgovarajuću obuku.

Za više informacija o primjeni lijeka Aspaveli pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Aspaveli?

Aspaveli se sastoji od dvaju povezanih sintetskih peptida (kratkih lanaca aminokiselina), koji se vežu na protein komplementa C3, dio obrambenog sustava tijela koji se naziva „sustav komplementa“.

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



U bolesnika s PNH-om proteini komplementa prekomjerno su aktivni i oštećuju stanice bolesnika. Blokiranjem proteina komplementa C3 Aspaveli sprječava proteine komplementa u oštećivanju stanica i time pomaže u ublažavanju simptoma te bolesti.

Koje su koristi od lijeka Aspaveli utvrđene u ispitivanjima?

Lijek Aspaveli pokazao se učinkovitim u sprječavanju razgradnje hemoglobina i povećanju njegovih razina u krvi u bolesnika s PNH-om koji su liječeni ekulizumabom tijekom najmanje tri mjeseca, ali su i dalje bili anemični.

Glavno ispitivanje provedeno je na 80 bolesnika s PNH-om koji se trenutačno liječe ekulizumabom, inhibitorom C5, a koji su i dalje bili anemični (razina hemoglobina < 10,5 g/dl) unatoč tom liječenju. Bolesnici su prešli na liječenje lijekom Aspaveli ili su nastavili liječenje ekulizumabom. Nakon 16 tjedana razine hemoglobina u bolesnika koji su primali lijek Aspaveli u prosjeku su se povećale za 2,37 g/dl, dok su se u bolesnika koji su i dalje primali ekulizumab smanjile za prosječno 1,47 g/dl. U tom je razdoblju 6 osoba od njih 41 koje su primale lijek Aspaveli trebalo transfuziju krvi u usporedbi s 33 od 39 osoba liječenih ekulizumabom.

Koji su rizici povezani s lijekom Aspaveli?

Najčešće nuspojave lijeka Aspaveli (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) jesu reakcije na mjestu primjene injekcije (crvenilo kože, svrbež, oticanje i bol na mjestu primjene), infekcija gornjih dišnih putova, bol u abdomenu, proljev, glavobolja, umor i vrućica. Najozbiljnije nuspojave jesu hemoliza (razgradnja crvenih krvnih stanica) i trombocitopenija (niska razina krvnih pločica), koje se mogu javiti u manje od 1 na 10 osoba.

Na temelju svojeg mehanizma djelovanja lijek Aspaveli može povećati rizik od infekcija. Aspaveli se ne smije primjenjivati u bolesnika s postojećom infekcijom uzrokovanom određenim bakterijama poznatima kao inkapsulirane bakterije, uključujući bakterije *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* i *Haemophilus influenzae*. Ne smije se primjenjivati ni u bolesnika koji trenutačno nisu cijepljeni protiv infekcije tim bakterijama. Osobe koje se cijepaju moraju uzimati odgovarajuće antibiotike kako bi se smanjio rizik od infekcije tijekom dva tjedna nakon cijepljenja.

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s primjenom potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Aspaveli odobren u EU-u?

Lijek Aspaveli pokazao se učinkovitim u povećavanju razina hemoglobina u krvi u bolesnika s PNH-om koji su liječeni ekulizumabom tijekom najmanje tri mjeseca, ali su i dalje bili anemični. Osim toga, smanjio je potrebu za transfuzijama krvi u tih bolesnika. U pogledu sigurnosti, iako su podatci o sigurnosti ograničeni zbog malog broja bolesnika uključenih u glavno ispitivanje, smatra se da je nuspojave lijeka Aspaveli moguće kontrolirati s obzirom na uvedene mjere minimizacije rizika.

Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Aspaveli nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Aspaveli?

Tvrtka koja stavlja lijek Aspaveli u promet osigurat će distribuciju lijeka tek nakon što se provjeri je li bolesnik primio odgovarajuće cjepivo. Također, tvrtka će liječnicima koji propisuju lijek i bolesnicima pružiti informacije o sigurnosti lijeka, a liječnicima koji propisuju lijek i ljekarnicima poslat će podsjetnike da provjere je li bolesnicima koji primaju lijek Aspaveli potrebno ponovno cijepljenje.

Bolesnici će dobiti i posebnu karticu s objašnjenjem simptoma određenih vrsta infekcija, kojom ih se upućuje da odmah potraže medicinsku pomoć ako razviju te simptome.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Aspaveli nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Aspaveli kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Aspaveli pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Aspaveli

Više informacija o lijeku Aspaveli dostupno je na internetskim stranicama Agencije:

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