



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (*pegcetacoplan*)

Az Aspaveli-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Aspaveli és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Aspaveli paroxizmális nokturnális hemoglobinuriában (PNH) szenvedő felnőttek kezelésére alkalmazott gyógyszer. Erre a betegségre az jellemző, hogy a vörösvérsejtek túl nagy mértékben bomlanak le (hemolízis), így nagy mennyiségű hemoglobin (a vörösvérsejtekben található fehérje, amely a szervezetben az oxigént szállítja) kerül a vizeletbe. Az Aspaveli-t olyan betegeknek alkalmazzák, akik a C5-gátlónak nevezett gyógyszertípussal végzett, legalább 3 hónapos kezelés ellenére továbbra is vérszegénységben (a vörösvérsejtek alacsony szintje) szenvednek.

Mivel a paroxizmális nokturnális hemoglobinuria „ritkának” minősül, ezért az Aspaveli-t 2017. május 22-én „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Az Aspaveli hatóanyaga a pegcetacoplan.

Hogyan kell alkalmazni az Aspaveli-t?

A gyógyszer csak receptre kapható. A kezelést a vérrendellenességek kezelésében tapasztalt egészségügyi szakember felügyelete mellett kell megkezdeni.

Az Aspaveli-t a has, a comb vagy a felkar bőre alá kell cseppinfúzióban beadni. A gyógyszert hetente kétszer (az 1. és a 4. napon) kell alkalmazni.

A betegek C5-gátlóval végzett kezelését az Aspaveli-kezelés megkezdését követően 4 hétig folytatni kell, majd a C5-gátlót el kell hagyni.

A betegek betanítást követően maguknak is beadhatják a gyógyszert.

Az Aspaveli alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



Hogyan fejt ki hatását az Aspaveli?

Az Aspaveli két, egymáshoz kapcsolódó szintetikus peptidből (rövid aminosav-láncokból) áll, amelyek a szervezet védekező rendszerének, az úgynevezett „komplementrendszernek” a részét képező C3 komplement fehérjéhez kötődnek.

A PNH-ban szenvedő betegeknél a komplement fehérjék túlzottan aktívak, és károsítják a betegek saját sejtjeit. A C3 komplement fehérjék gátlásával az Aspaveli megakadályozza, hogy a komplement fehérjék károsítsák a sejteket, így enyhíti a betegség tüneteit.

Milyen előnyei voltak az Aspaveli alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az Aspaveli hatásosnak bizonyult a hemoglobin lebomlásának megelőzésében és vérszintjének növelésében olyan, PNH-ban szenvedő betegeknél, akiket legalább 3 hónapig ekulizumabbal kezeltek, de vérszegénységük továbbra is fennállt.

A fő vizsgálatot 80, jelenleg ekulizumabbal – egy C5-gátlóval – kezelt, PNH-ban szenvedő beteg részvételével végezték, akiknél a kezelés ellenére továbbra is fennállt a vérszegénység (10,5 g/dl alatti hemoglobinszint). A betegeket vagy Aspaveli-re állították, vagy folytatták az ekulizumabbal végzett kezelésüket. 16 hét elteltével az Aspaveli-vel kezelt betegek hemoglobinszintje átlagosan 2,37 g/dl-rel emelkedett, míg az ekulizumabbal kezelt betegeknél átlagosan 1,47 g/dl-rel csökkent. Ebben az időszakban az Aspaveli-vel kezelt 41 beteg közül 6-nak volt szüksége vérátömlesztésre, míg az ekulizumabbal kezelt 39 beteg közül 33-nak.

Milyen kockázatokkal jár az Aspaveli alkalmazása?

Az Aspaveli leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) az injekció beadásának helyén fellépő reakciók (bőrvörösség, viszketés, duzzanat és helyi fájdalom), felső légúti fertőzés, hasi fájdalom, hasmenés, fejfájás, fáradtság és a láz. A legsúlyosabb mellékhatások a hemolízis (a vörösvérsejtek lebomlása) és a trombocitopénia (a vérlemezkék alacsony szintje), amelyek 10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhetnek.

Hatásmechanizmusa alapján az Aspaveli növelheti a fertőzések kockázatát. Az Aspaveli nem alkalmazható olyan betegeknél, akiknél jelenleg úgynevezett kapszulált baktériumok, például *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* vagy *Haemophilus influenzae* által okozott fertőzés áll fenn. A gyógyszer azoknál a betegeknél sem alkalmazható, akik jelenleg nincsenek beoltva az e baktériumok okozta fertőzés ellen. A beoltott személyeknek az oltást követő két hétben megfelelő antibiotikumokat kell szedniük a fertőzés kockázatának csökkentése érdekében.

A mellékhatások és korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték az Aspaveli forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Aspaveli hatásosnak bizonyult a vér hemoglobinszintjének növelésében olyan, PNH-ban szenvedő betegeknél, akiket legalább 3 hónapig ekulizumabbal kezeltek, de vérszegénységük továbbra is fennállt. A gyógyszer csökkentette a vérátömlesztés szükségességét is ezeknél a betegeknél. A biztonságosságot illetően, bár a biztonságossági adatok a fő vizsgálatba bevont betegek kis száma miatt korlátozottak, az Aspaveli mellékhatásai az érvényben lévő kockázatminimalizáló intézkedésekre figyelemmel kezelhetőnek tekinthetők.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Aspaveli alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Aspaveli biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Aspaveli-t forgalmazó vállalat gondoskodik arról, hogy a gyógyszer kiadására csak annak ellenőrzése után kerüljön sor, hogy a beteget megfelelően beoltották. A vállalat a gyógyszert felíró orvosok és a betegek számára a gyógyszer biztonságosságáról is tájékoztatást fog nyújtani, valamint emlékeztetőt küld a gyógyszert felíró orvosoknak és a gyógyszerészeknek, hogy ellenőrizzék, az Aspaveli-vel kezelt betegeknél szükség van-e további oltásra. A betegek egy speciális kártyát is kapnak, amely elmagyarázza bizonyos fertőzéstípusok tüneteit, valamint azt, hogy azonnal forduljanak orvoshoz, ha ezeket tapasztalják.

Az Aspaveli biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Aspaveli alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Aspaveli alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Aspaveli-vel kapcsolatos egyéb információ

Az Aspaveli-vel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli.