



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (*pegcetacoplano*)

Um resumo sobre Aspaveli e porque está autorizado na UE

O que é Aspaveli e para que é utilizado?

Aspaveli é um medicamento para o tratamento de adultos com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN), uma doença na qual existe uma degradação excessiva dos glóbulos vermelhos (hemólise), o que leva à libertação de grandes quantidades de hemoglobina (a proteína nos glóbulos vermelhos que transporta oxigénio pelo organismo) na urina. Aspaveli é utilizado em doentes que continuam a apresentar anemia (níveis baixos de glóbulos vermelhos) apesar do tratamento com um tipo de medicamento denominado inibidor do C5 durante pelo menos 3 meses.

A hemoglobinúria paroxística noturna é uma doença rara, e Aspaveli foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 22 de maio de 2017. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Aspaveli contém a substância ativa pegcetacoplano.

Como se utiliza Aspaveli?

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica. O tratamento deve ser iniciado sob a supervisão de um profissional de saúde com experiência no tratamento de doenças relacionadas com o sangue.

Aspaveli é administrado por perfusão (administração gota a gota) sob a pele da barriga, da coxa ou do braço. É administrado duas vezes por semana (nos dias 1 e 4).

Os doentes devem continuar a receber o inibidor do C5 durante 4 semanas após o início do tratamento com Aspaveli antes de interromperem o tratamento com o inibidor do C5.

Os doentes podem autoadministrar a perfusão depois de receberem formação adequada.

Para mais informações sobre a utilização de Aspaveli, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

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



Como funciona Aspaveli?

Aspaveli é constituído por dois peptídeos sintéticos (cadeias curtas de aminoácidos) ligados entre si, que visam e se ligam à proteína C3 do complemento, que faz parte do sistema de defesa do organismo denominado «sistema do complemento».

Nos doentes com HPN, as proteínas do complemento estão hiperativas e destroem os glóbulos vermelhos dos doentes. Ao bloquear a proteína C3 do complemento, Aspaveli impede que as proteínas do complemento danifiquem as células, contribuindo, desse modo, para o alívio dos sintomas desta doença.

Quais os benefícios demonstrados por Aspaveli durante os estudos?

Aspaveli demonstrou ser eficaz na prevenção da degradação da hemoglobina e no aumento dos seus níveis no sangue em doentes com HPN tratados com eculizumab durante pelo menos 3 meses, mas que continuavam com anemia.

O estudo principal foi realizado em 80 doentes com HPN a receber tratamento com eculizumab, um inibidor do C5, que continuavam com anemia (nível de hemoglobina <10,5 g/dL) apesar deste tratamento. Os doentes mudaram para Aspaveli ou continuaram o tratamento com eculizumab. Após 16 semanas, os níveis de hemoglobina nos doentes que receberam Aspaveli aumentaram, em média, 2,37 g/dl e diminuíram, em média, 1,47 g/dl nos doentes que ainda eram tratados com eculizumab. Durante este período, 6 das 41 pessoas que receberam Aspaveli necessitaram de uma transfusão sanguínea, em comparação com 33 das 39 pessoas tratadas com eculizumab.

Quais são os riscos associados a Aspaveli?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Aspaveli (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são reações no local da injeção (vermelhidão da pele, comichão, inchaço e dor no local de injeção), infeção do trato respiratório superior, dor abdominal, diarreia, dores de cabeça, cansaço e febre. Os efeitos secundários mais graves são hemólise (degradação dos glóbulos vermelhos) e trombocitopenia (níveis baixos de plaquetas), que pode afetar 1 em cada 10 pessoas.

Com base no seu mecanismo de ação, Aspaveli pode aumentar o risco de infeções. Aspaveli é contraindicado em doentes com uma infeção ativa causada por determinadas bactérias conhecidas como bactérias encapsuladas, incluindo *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* e *Haemophilus influenzae*. É também contraindicado em doentes que não estejam vacinados contra a infeção por essas bactérias. As pessoas vacinadas devem tomar antibióticos adequados para reduzir o risco de infeção durante duas semanas após a vacinação.

Para a lista completa dos efeitos secundários e das restrições de utilização, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Aspaveli autorizado na UE?

Aspaveli demonstrou ser eficaz no aumento dos níveis de hemoglobina no sangue em doentes com HPN tratados com eculizumab durante pelo menos 3 meses, mas que continuavam com anemia. Reduziu igualmente a necessidade de transfusões de sangue nesses doentes. Em termos de segurança, embora os dados sejam limitados devido ao reduzido número de doentes incluídos no estudo principal, os efeitos secundários de Aspaveli são considerados controláveis, tendo em conta as medidas de minimização do risco aplicáveis.

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Aspaveli são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Aspaveli?

A empresa que comercializa Aspaveli assegurará que a distribuição do medicamento é feita unicamente após verificação de que o doente foi vacinado de forma adequada. A empresa fornecerá igualmente informações sobre a segurança do medicamento aos médicos prescritores e aos doentes e enviará advertências aos médicos prescritores e aos farmacêuticos para que estes verifiquem se é necessária alguma vacinação adicional para os doentes tratados com Aspaveli. Os doentes receberão também um cartão especial que explica os sintomas de determinados tipos de infeção e fornece instruções para os doentes procurarem imediatamente cuidados médicos no caso de serem afetados por esses sintomas.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Aspaveli.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Aspaveli são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Aspaveli são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Aspaveli

Mais informações sobre Aspaveli podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli.