EMA/51587/2024
EMEA/H/C/005553

Aspaveli (*pegcetacoplano*)

Um resumo sobre Aspaveli e por que está autorizado na UE

O que é Aspaveli e para que é utilizado?

Aspaveli é um medicamento utilizado em adultos para o tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna (HPN), uma doença adquirida em que 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 com HPN com anemia (níveis baixos de glóbulos vermelhos) devido a hemólise.

A hemoglobinúria paroxística noturna é uma doença rara, e Aspaveli foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 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 do abdómen, das coxas, dos quadris ou dos braços superiores. É administrado duas vezes por semana (nos dias 1 e 4). Os doentes podem administrar a si próprios o medicamento se o médico considerar adequado e tiverem recebido formação para o fazer. A menos que exista uma razão clínica para a interrupção do tratamento, Aspaveli é continuado durante toda a vida.

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

Como funciona Aspaveli?

A substância ativa de Aspaveli, o pegcetacoplano, é constituída por dois péptidos sintéticos (cadeias curtas de aminoácidos) que estão ligados entre si. Liga-se à proteína do complemento C3, que faz parte do sistema imunitário (as defesas naturais do organismo) denominado «sistema complementar».

© European Medicines Agency, 2024. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

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, ajudando, desta forma, a aliviar os sintomas da HPN.

Quais os benefícios demonstrados por Aspaveli durante os estudos?

Aspaveli demonstrou ser eficaz na prevenção da degradação dos glóbulos vermelhos e no aumento dos níveis de hemoglobina no sangue num estudo que incluiu doentes com HPN tratados com eculizumab durante pelo menos 3 meses, mas que continuavam com anemia.

O estudo foi realizado em 80 doentes com HPN a receber tratamento com eculizumab, um medicamento conhecido como inibidor do complemento, mas 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, enquanto diminuíram, em média, 1,47 g/dL nos doentes que ainda foram tratados com eculizumab. Durante este período, 6 dos 41 doentes que receberam Aspaveli necessitaram de uma transfusão sanguínea, em comparação com 33 dos 39 doentes tratados com eculizumab.

Um segundo estudo avaliou a utilização de Aspaveli em 53 doentes com HPN que não tinham recebido um inibidor do complemento nos 3 meses que antecederam o estudo. Aspaveli foi mais eficaz do que os cuidados de suporte (tratamento para prevenir ou aliviar os sintomas da doença) no controlo da degradação dos glóbulos vermelhos e na estabilização dos níveis de hemoglobina. Após 26 semanas de tratamento, os níveis de hemoglobina estabilizaram-se (o que significa que não diminuíram mais de 1 g/dL sem que o doente tenha uma transfusão sanguínea) em cerca de 86 % dos doentes tratados com Aspaveli (30 em 35), em comparação com nenhum dos doentes tratados com cuidados de suporte (0 em 18).

O estudo também avaliou o efeito do tratamento nos níveis sanguíneos de lactato desidrogenase (LDH; um marcador de danos nos tecidos que é aumentado quando os glóbulos vermelhos se decompõem). Após 26 semanas, os doentes tratados com Aspaveli registaram uma diminuição média de 1870 unidades/l nos seus níveis de LDH, em comparação com uma diminuição média de 400 unidades/l nos doentes tratados com cuidados de suporte. Durante este período, cerca de 91 % dos doentes que receberam Aspaveli (32 em 35) não necessitaram de uma transfusão, em comparação com 6 % dos que receberam cuidados de suporte (1 em 18).

Quais são os riscos associados a Aspaveli?

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

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Aspaveli (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem reações no local da injeção (vermelhidão da pele, comichão, inchaço, nódoas negras e dor no local de injeção), infeção do trato respiratório superior (nariz e garganta), dor abdominal (dor de barriga), diarreia, hemólise, dor de cabeça, cansaço, febre, tosse, infeção do trato urinário, dor nas extremidades (braço ou perna), tonturas, dor nas articulações e nas costas e complicações com vacinação. Os efeitos secundários mais graves incluem hemólise (que pode afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) e sépsis (envenenamento do sangue; que pode afetar até 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. O seu uso é também contraindicado em doentes que não estejam atualmente vacinados contra estas bactérias, a menos que tomem antibióticos adequados para reduzir o risco de infeção durante duas semanas após a vacinação.

Por que está Aspaveli autorizado na UE?

Aspaveli é eficaz no aumento dos níveis de hemoglobina no sangue em doentes com HPN que tinham sido tratados com eculizumab durante, pelo menos, 3 meses, mas que ainda estavam anémicos. Aspaveli foi também mais eficaz do que os cuidados de suporte à HPN na estabilização dos níveis de hemoglobina e no controlo da degradação dos glóbulos vermelhos em doentes que não tinham sido tratados com inibidores do complemento durante, pelo menos, 3 meses. Reduziu também a necessidade de transfusões sanguíneas em doentes com HPN. No entanto, as incertezas relacionadas com a conceção do estudo em doentes que não tinham sido tratados com inibidores do complemento durante pelo menos 3 meses limitaram a avaliação dos benefícios e riscos de Aspaveli nestes doentes.

Em termos de segurança, embora os dados sobre segurança sejam limitados devido ao reduzido número de doentes incluídos nos estudos principais, os efeitos secundários de Aspaveli são considerados controláveis, tendo em conta as medidas em vigor para minimizar o seu risco.

Por conseguinte, 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

A 13 de dezembro de 2021, Aspaveli recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a UE.

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 02-2024.