



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (*pegcetakoplan*)

Prehľad o lieku Aspaveli a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Aspaveli a na čo sa používa?

Liek Aspaveli sa používa na liečbu dospelých s paroxyzmálnou nočnou hemoglobínúriou (PNH), ochorením, pri ktorom dochádza k nadmernému rozpadu červených krviniek (hemolýza), čo vedie k uvoľneniu veľkého množstva hemoglobínu (proteínu v červených krvinkách, ktorý prenáša kyslík v tele) do moču. Liek Aspaveli sa používa u pacientov, ktorí majú anémiu (nízku hladinu červených krviniek) aj napriek liečbe typom lieku nazývaným inhibítor C5 najmenej počas 3 mesiacov.

Paroxyzmálna nočná hemoglobínúria je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Aspaveli 22. mája 2017 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Liek Aspaveli obsahuje liečivo pegcetakoplan.

Ako sa liek Aspaveli používa?

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis. Liečba sa má začať pod dohľadom zdravotníckeho pracovníka, ktorý má skúsenosti s liečbou porúch súvisiacich s krvou.

Liek Aspaveli sa podáva vo forme infúzie (na kvapkanie) pod kožu na bruchu, stehne alebo v hornej časti ramena. Liek sa podáva dvakrát týždenne (v 1. a 4. deň).

Pacienti majú naďalej dostávať inhibítor C5 počas 4 týždňov od začatia liečby liekom Aspaveli, a potom sa má inhibítor C5 vysadiť.

Pacienti si po zaškolení môžu infúziu podávať sami.

Viac informácií o používaní lieku Aspaveli si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Aspaveli účinkuje?

Liek Aspaveli sa vyrába z dvoch navzájom prepojených syntetických peptidov (krátke reťazce aminokyselín), ktoré sú zacielené a ktoré sa viažu na proteín komplementu C3. Ten je súčasťou obranného systému tela a nazýva sa tzv. komplementový systém.

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 pacientov s paroxyzmálnou nočnou hemoglobínúriou sú proteíny komplementu nadmerne aktívne a poškodzujú vlastné bunky pacienta. Zablokovaním proteínu komplementu C3 liek Aspaveli bráni proteínom komplementu v poškodzovaní buniek, čo pomáha zmierniť príznaky tohto ochorenia.

Aké prínosy lieku Aspaveli boli preukázané v štúdiách?

Preukázalo sa, že liek Aspaveli je účinný pri prevencii rozpadu hemoglobínu a zvyšovaní jeho hladiny v krvi u pacientov s PNH, ktorí boli liečení ekulizumabom najmenej tri mesiace, ale stále boli anemickí.

Hlavná štúdia sa uskutočnila u 80 pacientov s PNH, ktorí boli v tom čase liečení ekulizumabom, inhibítorom C5, napriek tejto liečbe však boli naďalej anemickí (hladina hemoglobínu < 10,5 g/dl). Pacienti buď prešli na liek Aspaveli alebo pokračovali v liečbe ekulizumabom. Po 16 týždňoch sa hladina hemoglobínu u pacientov, ktorým bol podávaný liek Aspaveli, zvýšila v priemere o 2,37 g/dl, zatiaľ čo u pacientov, ktorí boli ešte liečení ekulizumabom, sa znížila priemerne o 1,47 g/dl. Počas tohto obdobia potrebovalo krvnú transfúziu 6 zo 41 osôb, ktorým bol podávaný liek Aspaveli, v porovnaní s 33 z 39 osôb liečených ekulizumabom.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Aspaveli?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Aspaveli (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú reakcie v mieste vpichu injekcie (začervenanie kože, svrbenie, opuch a bolesť v mieste vpichu), infekcia horných dýchacích ciest, bolesť brucha, hnačka, bolesť hlavy, únava a horúčka. Najzávažnejšie vedľajšie účinky sú hemolýza (rozpad červených krviniek) a trombocytopenia (nízka hladina krvných doštičiek), ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10.

Liek Aspaveli môže na základe svojho mechanizmu účinku zvýšiť riziko infekcií. Liek Aspaveli sa nesmie používať u pacientov s prebiehajúcou infekciou spôsobenou určitými baktériami známymi ako opuzdrené baktérie vrátane *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* a *Haemophilus influenzae*. Liek nesmú používať ani pacienti, ktorí v súčasnosti nie sú očkovaní proti infekcii týmito baktériami. Osoby, ktoré dostanú očkovanie, musia počas dvoch týždňov po očkovaní používať vhodné antibiotiká na zníženie rizika infekcie.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Aspaveli povolený v EÚ?

Preukázalo sa, že liek Aspaveli je účinný pri zvyšovaní hladiny hemoglobínu u pacientov s PNH, ktorí boli liečení ekulizumabom najmenej tri mesiace, ale stále boli anemickí. U týchto pacientov tiež znížil potrebu krvných transfúzií. Pokiaľ ide o bezpečnosť, aj keď sú údaje o bezpečnosti obmedzené z dôvodu malého počtu pacientov zaradených do hlavnej štúdie, vedľajšie účinky lieku Aspaveli sa považujú vzhľadom na zavedené opatrenia na minimalizovanie rizík za zvládnuteľné.

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Aspaveli sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Aspaveli?

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Aspaveli na trh, zabezpečí, aby sa distribúcia lieku uskutočnila až po overení náležitého zaočkovania pacienta. Spoločnosť tiež poskytne predpisujúcim lekárom a pacientom informácie o bezpečnosti lieku a predpisujúcim lekárom a lekárnikom pripomenie, aby skontrolovali, či sa u pacientov dostávajúcích liek Aspaveli nevyžaduje ďalšie očkovanie. Pacienti tiež dostanú osobitnú kartu, na ktorej sú vysvetlené príznaky určitých druhov infekcie, spolu s pokynmi, aby v prípade výskytu týchto príznakov okamžite vyhľadali lekársku pomoc.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Aspaveli boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Aspaveli sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Aspaveli sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Aspaveli

Ďalšie informácie o lieku Aspaveli sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli.