



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Aspaveli (*pegcetakoplan*)

Sammanfattning av Aspaveli och varför det är godkänt inom EU

### Vad är Aspaveli och vad används det för?

Aspaveli är ett läkemedel för behandling av vuxna med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH), ett tillstånd som innebär kraftig nedbrytning av röda blodkroppar (hemolys), vilket leder till att stora mängder hemoglobin (proteinet i de röda blodkropparna som transporterar syre i kroppen) frisätts i urinen. Aspaveli ges till patienter som fortfarande har anemi (låga halter av röda blodkroppar) trots behandling med en typ av läkemedel som kallas C5-hämmare i minst tre månader.

Paroxysmal nokturn hemoglobinuri är sällsynt och Aspaveli klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 22 maj 2017. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns här: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873).

Läkemedlet innehåller den aktiva substansen pegcetakoplan.

### Hur används Aspaveli?

Läkemedlet är receptbelagt. Behandlingen ska inledas under övervakning av hälso- och sjukvårdspersonal med erfarenhet av behandling av blodrelaterade sjukdomar.

Aspaveli ges som en infusion (dropp) under huden i magen, låret eller överarmen. Det ges två gånger i veckan (på dag 1 och 4).

Patienterna ska fortsätta få sin C5-hämmare i fyra veckor efter att de börjat ta Aspaveli innan de slutar ta C5-hämmaren.

Patienterna kan ge sig själva droppbehandlingen så snart de har fått lära sig hur man gör.

För mer information om hur du använder Aspaveli, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

### Hur verkar Aspaveli?

Aspaveli består av två syntetiska peptider (korta kedjor av aminosyror) som är sammankopplade och som riktar in sig på och fäster vid komplementproteinet C3, en del av kroppens försvarssystem som kallas "komplementsystemet".

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Hos patienter med PNH är komplementproteinerna överaktiva och skadar patienternas egna celler. Genom att blockera komplementproteinet C3 förhindrar Aspaveli att komplementproteinerna skadar cellerna och lindrar på så sätt symtomen på sjukdomen.

## **Vilka fördelar med Aspaveli har visats i studierna?**

Aspaveli visade sig vara effektivt när det gäller att förhindra nedbrytningen av hemoglobin och öka dess nivåer i blodet hos patienter med PNH som hade behandlats med ekulizumab under minst tre månader men fortfarande hade anemi.

Huvudstudien genomfördes på 80 patienter med PNH som för närvarande behandlades med ekulizumab, en C5-hämmare, men som fortfarande hade anemi (hemoglobinnivå <10,5 g/dl) trots denna behandling. Patienterna bytte antingen till Aspaveli eller fortsatte med sin behandling med ekulizumab. Efter 16 veckor ökade hemoglobinnivåerna hos patienter som fick Aspaveli i genomsnitt med 2,37 g/dl, medan de minskade med i genomsnitt 1,47 g/dl hos patienter som fortfarande behandlades med ekulizumab. Under denna period behövde 6 av 41 personer som fick Aspaveli blodtransfusion, jämfört med 33 av 39 personer som behandlades med ekulizumab.

## **Vilka är riskerna med Aspaveli?**

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Aspaveli (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är reaktioner på injektionsstället (hudrodnad, klåda, svullnad och smärta), övre luftvägsinfektion, buksmärta, diarré, huvudvärk, trötthet och feber. De allvarligaste biverkningarna är hemolys (nedbrytning av röda blodkroppar) och trombocytopeni (lågt antal blodplättar), vilket kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare.

Baserat på sin verkningsmekanism kan Aspaveli öka risken för infektioner. Aspaveli får inte ges till patienter med pågående infektion orsakad av vissa bakterier som kallas inkapslade bakterier, såsom *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* och *Haemophilus influenzae*. Det får heller inte ges till patienter som för närvarande inte är vaccinerade mot en infektion med dessa bakterier. Personer som vaccineras måste ta lämpliga antibiotika för att minska infektionsrisken under två veckor efter vaccinationen.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner finns i bipacksedeln.

## **Varför är Aspaveli godkänt i EU?**

Aspaveli har visat sig vara effektivt när det gäller att öka hemoglobinnivåerna i blodet hos patienter med PNH som behandlats med ekulizumab under minst tre månader men fortfarande hade anemi. Det minskade också behovet av blodtransfusioner hos dessa patienter. Vad gäller säkerheten anses Aspavelis biverkningar vara hanterbara med tanke på de insatta åtgärderna för riskminimering, även om uppgifterna om säkerhet är begränsade på grund av det låga antalet patienter i huvudstudien.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Aspaveli är större än riskerna och att Aspaveli kan godkännas för försäljning i EU.

## **Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Aspaveli?**

Företaget som marknadsför Aspaveli ska se till att läkemedlet endast distribueras efter att man har kontrollerat att patienten har fått rätt vaccination. Företaget kommer även att förse förskrivande läkare och patienter med information om läkemedlets säkerhet och det kommer att skicka en påminnelse till förskrivande läkare och apotekspersonal om att kontrollera om patienterna som tar Aspaveli eventuellt behöver ytterligare vaccination. Patienterna ska också få ett särskilt kort som

förklarar symtomen på vissa typer av infektioner och uppmanar patienterna att omedelbart söka läkarvård om de skulle råka ut för dem.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Aspaveli har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Aspaveli kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Aspaveli utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

## **Mer information om Aspaveli**

Mer information om Aspaveli finns på EMA:s webbplats:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli).