



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (*pegcetakoplanas*)

Aspaveli apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Aspaveli ir kam jis vartojamas?

Aspaveli – vaistas, kuriuo gydomi suaugusieji, sergantys paroksizmine naktine hemoglobinurija (PNH) – įgyta liga, pasireiškiančia suintensyvėjusiu raudonųjų kraujo ląstelių irimu (hemolize), dėl kurio į šlapimą išsiskiria didelis hemoglobino (raudonųjų kraujo ląstelių baltymas, organizme pernešantis deguonį) kiekis. Aspaveli skiriamas PNH sergantiems pacientams, kuriems dėl hemolizės išsivysto anemija (sumažėja raudonųjų kraujo ląstelių kiekis).

Paroksizminė naktinė hemoglobinurija laikoma reta liga, todėl 2017 m. gegužės 22 d. Aspaveli priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Aspaveli sudėtyje yra veikliosios medžiagos pegcetakoplano.

Kaip vartoti Aspaveli?

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą. Gydymą reikia pradėti prižiūrint sveikatos priežiūros specialistui, turinčiam kraujo ligų gydymo patirties.

Aspaveli lašinamas infuzijos būdu po pilvo, šlaunų, klubų arba žasto oda. Vaisto skiriama du kartus per savaitę (pirmą ir ketvirtą dieną). Pacientas infuzijas gali atlikti pats, jei gydytojas leidžia ir pacientas išmokomas tai daryti. Jei nėra klinikinių priežasčių nutraukti gydymą, Aspaveli vartojamas visą gyvenimą.

Daugiau informacijos apie Aspaveli vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Aspaveli?

Aspaveli veiklioji medžiaga pegcetakoplanas gaminamas iš dviejų sujungtų sintetinių peptidų (aminorūgščių trumpųjų grandinių). Jis jungiasi prie komplemento baltymo C3, kuris yra imuninės (natūralios organizmo apsaugos) sistemos, vadinamos „komplemento sistema“, dalis.

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



PNH sergančių pacientų organizme pernelyg aktyvūs komplemento baltymai pažeidžia paciento ląsteles. Blokuodamas komplemento baltymą C3, Aspaveli neleidžia komplemento baltymams pažeisti ląstelių ir taip padeda palengvinti PNH simptomus.

Kokia Aspaveli nauda nustatyta tyrimų metu?

Atlikus tyrimą su PNH sergančiais pacientais, kuriuos bent 3 mėnesius gydžius ekulizumabu anemija neišnyko, nustatyta, kad Aspaveli padeda išvengti raudonųjų kraujo ląstelių irimo ir padidinti hemoglobino koncentraciją kraujyje.

Tyrimas atliktas su 80 PNH sergančių pacientų, gydomų ekulizumabu (vaistu, vadinamu komplemento inhibitoriumi), kurių anemija, nors ir gydoma, neišnyko (hemoglobino koncentracija < 10,5 g/dl). Pacientams pradėtas taikyti gydymas Aspaveli arba jie buvo toliau gydomi ekulizumabu. Per 16 savaičių hemoglobino koncentracija Aspaveli vartojusiems pacientams padidėjo vidutiniškai 2,37 g/dl, o gydomiems ekulizumabu – vidutiniškai 1,47 g/dl. Šiuo laikotarpiu kraujo perpylimo prireikė 6 iš 41 Aspaveli gydytų pacientų ir 33 iš 39 ekulizumabu gydytų pacientų.

Atliekant antrą tyrimą buvo vertinamas Aspaveli poveikis 53 PNH sergantiems pacientams, kurie 3 mėnesius iki tyrimo nebuvo gydomi komplemento inhibitoriumi. Aspaveli labiau už palaikomąją priežiūrą (gydymą, kuriuo siekiama išvengti ligos simptomų arba juos palengvinti) padėjo kontroliuoti raudonųjų kraujo ląstelių irimą ir stabilizuoti hemoglobino koncentraciją. Per 26 gydymo savaites hemoglobino koncentracija stabilizavosi (t. y. be kraujo perpylimo nesumažėjo daugiau kaip 1 g/dl) maždaug 86 proc. (30 iš 35) Aspaveli gydytų pacientų. Tarp pacientų, kuriems buvo taikoma palaikomoji priežiūra, tokių pacientų nebuvo (0 iš 18).

Tyrimė taip pat buvo vertinamas gydymo poveikis laktatdehidrogenazės (LDH – audinių pažeidimo žymens, kuris yrant raudonosioms kraujo ląstelėms yra padidėjęs) koncentracijai kraujyje. Po 26 savaičių Aspaveli gydytų pacientų LDH koncentracija buvo sumažėjusi vidutiniškai 1 870 vienetų/l, o pacientų, kuriems buvo taikoma palaikomoji priežiūra, – vidutiniškai 400 vienetų/l. Šiuo laikotarpiu kraujo nereikėjo perpilti maždaug 91 proc. (32 iš 35) Aspaveli gydytų pacientų, palyginti su 6 proc. (1 iš 18) pacientų, kuriems buvo taikoma palaikomoji priežiūra.

Kokia rizika susijusi su Aspaveli vartojimu?

Išsamų visų šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Aspaveli šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra reakcijos injekcijos vietoje (odos paraudimas, niežėjimas, patinimas, kraujosruvos ir skausmas infuzijos vietoje), viršutinių kvėpavimo takų (nosies ir gerklės) infekcija, pilvo skausmas, viduriavimas, hemolizė, galvos skausmas, nuovargis, karščiavimas, kosulys, šlapimo takų infekcija, galūnių (rankų ir kojų) skausmas, svaigulys, sąnarių ir nugaros skausmas ir su vakcinacija susijusios komplikacijos. Sunkiausias šalutinis poveikis yra hemolizė (galinti pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) ir sepsis (kraujo užkrėtimas, pasireiškiantis rečiau kaip 1 žmogui iš 10).

Dėl savo veikimo mechanizmo Aspaveli gali padidinti infekcijų riziką. Aspaveli negalima vartoti pacientams, sergantiems tam tikrų bakterijų, vadinamų kapsulinėmis bakterijomis, įskaitant *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* ir *Haemophilus influenzae*, sukelta nuolatine infekcija. Vaisto taip pat negalima vartoti pacientams, kurie šiuo metu nėra paskiepyti nuo šių bakterijų, nebent jie vartoja tinkamus antibiotikus infekcijos rizikai sumažinti dvi savaites po vakcinacijos.

Kodėl Aspaveli buvo registruotas ES?

Aspaveli padidina hemoglobino koncentraciją kraujyje PNH sergantiems pacientams, kuriuos bent 3 mėnesius gydžius ekulizumabu anemija neišnyko. Aspaveli taip pat buvo veiksmingesnis už palaikomąją PNH priežiūrą siekiant stabilizuoti hemoglobino koncentraciją ir kontroliuoti raudonųjų kraujo ląstelių irimą pacientams, kurie nebuvo gydyti komplemento inhibitoriais bent 3 mėnesius. Jis taip pat sumažino kraujo perpylimo poreikį PNH sergantiems pacientams. Tačiau dėl neaiškumų, susijusių su tyrimo struktūra, buvo sunku įvertinti Aspaveli naudą ir riziką pacientams, kurie bent 3 mėnesius nebuvo gydyti komplemento inhibitoriais.

Kalbant apie saugumą, nors dėl nedidelio pagrindiniuose tyrimuose dalyvavusių pacientų skaičiaus turėta nedaug saugumo duomenų, manoma, kad Aspaveli šalutinis poveikis yra kontroliuojamas taikant priemones jo keliamai rizikai sumažinti.

Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Aspaveli nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Aspaveli vartojimą?

Aspaveli prekiaujanti bendrovė užtikrins, kad vaistas būtų skiriamas tik įsitikinus, jog pacientas paskiepytas visomis privalomomis vakcinomis. Vaistą skiriantiems gydytojams ir pacientams bendrovė pateiks su vaisto saugumu susijusią informaciją ir gydytojams ir vaistininkams išsiųs priminimus, kad reikia patikrinti, ar Aspaveli gydomas pacientas dar turi būti paskiepytas kokia nors vakcina. Pacientams taip pat bus duodama speciali kortelė, kurioje bus pateikta informacija apie tam tikrų infekcijų simptomus ir nurodyta nedelsiant kreiptis į gydytoją, jeigu tie simptomai pasireikštų.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Aspaveli vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Aspaveli vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Aspaveli šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Aspaveli

Aspaveli buvo registruotas visoje ES 2021 m. gruodžio 13 d.

Daugiau informacijos apie Aspaveli rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli.

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2024-02.