



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (*pegcetacoplan*)

Aspaveli pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Aspaveli* un kāpēc tās lieto?

Aspaveli ir zāles, ko lieto pieaugušajiem, lai ārstētu paroksismālo nakts hemoglobīnūriju (PNH), iegūtu slimību, kuras gadījumā notiek pārmērīga sarkano asins šūnu sabrukšana (hemolīze), kā rezultātā urīnā izdalās liels daudzums hemoglobīna (sarkanajās asinīs šūnās esoša olbaltumviela, kas organismā transportē skābekli). *Aspaveli* lieto pacientiem ar PNH, kuriem ir anēmija (mazs sarkano asins šūnu skaits) hemolīzes dēļ.

Paroksismāla nakts hemoglobīnūrija ir reta slimība, un 2017. gada 22. maijā *Aspaveli* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Aspaveli satur aktīvo vielu pegcetakoplānu.

Kā lieto *Aspaveli*?

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti. Ārstēšana jāuzsāk ar asinīm saistītu slimību ārstēšanā pieredzējuša veselības aprūpes speciālista uzraudzībā.

Aspaveli ievada infūzijas veidā (pa pilienam) zem ādas vēdera, augšstilbu, gurnu vai augšdelmu apvidū. Tās lieto divas reizes nedēļā (1. un 4. dienā). Pacienti var paši sev injicēt zāles, ja ārsts to uzskata par piemērotu un viņi ir apmācīti to darīt. *Aspaveli* turpina lietot visu mūžu, ja vien nav klīniska iemesla pārtraukt ārstēšanu.

Papildu informāciju par *Aspaveli* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Aspaveli* darbojas?

Aspaveli aktīvā viela pegcefakoplāns ir izgatavota no diviem sintētiskiem peptīdiem (īsām aminoskābju ķēdēm), kas ir savstarpēji saistīti. Tas piesaistās C3 komplementa olbaltumvielai, kas ir daļa no imūnsistēmas (organisma dabiskās aizsargsistēmas), ko sauc par „komplementa sistēmu”.

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



Pacientiem ar PNH komplementa olbaltumvielas ir pārāk aktīvas un bojā pacientu pašu šūnas. Bloķējot C3 komplementa olbaltumvielu, *Aspaveli* novērš komplementa olbaltumvielu uzbrukumu šūnām, tādējādi palīdzot mazināt PNH simptomus.

Kādi *Aspaveli* ieguvumi atklāti pētījumos?

Pētījumā, kurā piedalījās pacienti ar PNH, kuri vismaz 3 mēnešus tika ārstēti ar ekulizumabu, bet joprojām bija anēmiski, tika pierādīts, ka *Aspaveli* efektīvi novērš sarkano asins šūnu noārdīšanos un paaugstina hemoglobīna līmeni asinīs.

Pētījums tika veikts 80 pacientiem ar PNH, kurus pašlaik ārstē ar ekulizumabu, zālēm, ko dēvē par komplementa inhibitoru, bet kuri, neraugoties uz šo ārstēšanu, joprojām bija anēmiski (hemoglobīna līmenis <10,5 g/dl). Pacientiem vai nu nomainīja terapiju uz *Aspaveli*, vai turpināja ārstēšanu ar ekulizumabu. Pēc 16 nedēļām pacientiem, kuri saņēma *Aspaveli*, hemoglobīna līmenis paaugstinājās vidēji par 2,37 g/dl, savukārt pacientiem, kuri joprojām tika ārstēti ar ekulizumabu, tas pazeminājās vidēji par 1,47 g/dl. Šajā periodā 6 no 41 pacienta, kas saņēma *Aspaveli*, bija nepieciešama asins pārliešana, salīdzinot ar 33 no 39 pacientiem, kurus ārstēja ar ekulizumabu.

Otrajā pētījumā novērtēja *Aspaveli* lietošanu 53 pacientiem ar PNH, kuri trīs mēnešu laikā līdz pētījumam nebija saņēmuši komplementa inhibitoru. *Aspaveli* efektīvāk nekā atbalsta terapija (terapija slimības simptomu profilaksei vai atvieglošanai) nodrošināja sarkano asins šūnu sabrukšanas kontroli un stabilizēja hemoglobīna līmeni. Pēc 26 ārstēšanas nedēļām hemoglobīna līmenis bija stabilizējies (proti, tas pazeminājās par ne vairāk kā 1 g/dl bez asins pārliešanas) apmēram 86 % pacientu, kurus ārstēja ar *Aspaveli* (30 no 35), salīdzinājumā ar nevienu no pacientiem, kuriem veica atbalsta terapiju (0 no 18).

Pētījumā tika novērtēta arī ārstēšanas ietekme uz laktātdehidrogenāzes (LDH; marķieris audu bojājumu noteikšanai, kura līmenis paaugstinās, kad sabrūk sarkanās asins šūnas) līmeni asinīs. Pēc 26 nedēļām pacientiem, kurus ārstēja ar *Aspaveli*, LDH līmenis bija pazeminājies vidēji par 1870 vienībām/l salīdzinājumā ar vidējo pazeminājumu par 400 vienībām/l pacientiem, kuriem veica atbalsta terapiju. Šajā periodā apmēram 91 % pacientu, kuri saņēma *Aspaveli* (32 no 35), nebija nepieciešama asins pārliešana, salīdzinot ar 6 % pacientu, kuriem veica atbalsta terapiju (1 no 18).

Kāds risks pastāv, lietojot *Aspaveli*?

Pilnu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Aspaveli* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir reakcijas injekcijas vietā (ādas apsārtums, nieze, pietūkums, asinsizplūdums un sāpes injekcijas vietā), augšējo elpceļu (deguna un rīkles) infekcija, sāpes vēderā, caureja, hemolīze, galvassāpes, nogurums, drudzis, klepus, urīnceļu infekcija, sāpes ekstremitātēs (rokā vai kājā), reibonis, sāpes locītavās un mugurā un komplikācijas pēc vakcinācijas. Visnopietnākās blakusparādības ir hemolīze (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) un sepse (asins saindēšanās, kas var rasties līdz 1 no 10 cilvēkiem).

Pamatojoties uz šo zāļu darbības mehānismu, *Aspaveli* var palielināt infekciju risku. *Aspaveli* nedrīkst lietot pacientiem, kuriem ir pastāvīga infekcija, ko izraisījušas konkrētas baktērijas, kas zināmas kā baktērijas ar apvalku, to vidū *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* un *Haemophilus influenzae*. Tās nedrīkst lietot arī pacientiem, kuri pašlaik nav vakcināti pret šīm baktērijām, izņemot gadījumus, kad viņi lieto atbilstošas antibiotikas, lai samazinātu infekcijas risku divas nedēļas pēc vakcinācijas.

Kāpēc *Aspaveli* ir reģistrētas ES?

Aspaveli efektīvi paaugstina hemoglobīna līmeni asinīs pacientiem ar PNH, kuri ir ārstēti ar ekulizumabu vismaz trīs mēnešus, bet joprojām ir anēmiski. Turklāt PNH gadījumā *Aspaveli* bija efektīvākas nekā atbalsta terapija, stabilizējot hemoglobīna līmeni un kontrolējot sarkano asins šūnu sabrukšanu pacientiem, kuri vismaz trīs mēnešus nebija ārstēti ar komplementa inhibitoriem. Tas arī samazināja asins pārļiešanas nepieciešamību pacientiem ar PNH. Tomēr neskaidrības, kas saistītas ar pētījuma plānojumu pacientiem, kuri vismaz trīs mēnešus nebija ārstēti ar komplementa inhibitoriem, ierobežoja *Aspaveli* ieguvumu un riska novērtējumu šiem pacientiem.

Lai gan dati par drošumu ir ierobežoti, jo pamatpētījumos ir iekļauts neliels pacientu skaits, *Aspaveli* blakusparādības tiek uzskatītas par kontrolējamām, ņemot vērā spēkā esošos pasākumus riska mazināšanai.

Tāpēc Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Aspaveli*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Aspaveli* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Aspaveli*, nodrošinās, ka šīs zāles izsniedz tikai pēc tam, kad ir pārbaudīts, vai pacients ir atbilstoši vakcinēts. Turklāt uzņēmums šo zāļu parakstītājiem un pacientiem sniegs informāciju par zāļu drošumu, kā arī zāļu parakstītājiem un farmaceitiem nosūtīs atgādinājumu pārbaudīt, vai pacientiem, kuri lieto *Aspaveli*, ir nepieciešama revakcinācija. Pacientiem tiks izsniegta arī īpaša kartīte, kurā izskaidroti noteiktu infekcijas veidu simptomi, ar norādījumu šo simptomu rašanās gadījumā nekavējoties vērsties pēc medicīniskās palīdzības.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā ir iekļauti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Aspaveli* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Aspaveli* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Aspaveli* lietošanu iespējami saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Aspaveli*

2021. gada 13. decembrī *Aspaveli* saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par *Aspaveli* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli.

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2024. gada februārī.