



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (*pegcetacoplan*)

Prezentare generală a Aspaveli și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Aspaveli și pentru ce se utilizează?

Aspaveli este un medicament utilizat la adulți pentru tratarea hemoglobinuriei paroxistice nocturne (HPN), boală dobândită în care există o descompunere excesivă a globulelor roșii (hemoliză), ceea ce duce la eliberarea în urină a unor cantități mari de hemoglobină (proteina din globulele roșii care transportă oxigenul în organism). Aspaveli se utilizează la pacienții cu HPN care au anemie (număr mic de globule roșii) din cauza hemolizei.

Hemoglobinuria paroxistică nocturnă este rară, iar Aspaveli a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 22 mai 2017. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi aici: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Aspaveli conține substanța activă pegcetacoplan.

Cum se utilizează Aspaveli?

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Tratamentul trebuie inițiat sub supravegherea unui cadru medical cu experiență în tratarea tulburărilor hematologice.

Aspaveli se administrează sub formă de perfuzie subcutanată (picurare sub piele) în burtă, în coapsă, în șolduri sau în partea superioară a brațului. Se administrează de două ori pe săptămână (în zilele 1 și 4). Pacienții își pot administra singuri perfuzia, dacă medicul consideră acest lucru adecvat și au fost instruiți în acest sens. Cu excepția cazului în care există un motiv clinic pentru oprirea tratamentului, Aspaveli se ia toată viața.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Aspaveli, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Aspaveli?

Substanța activă din Aspaveli, pegcetacoplanul, este alcătuită din două peptide sintetice (lanțuri scurte de aminoacizi) care sunt legate între ele. Se leagă de proteina complement C3, care face parte din sistemul imunitar (sistemul natural de apărare al organismului) numit „sistemul complement”.



La pacienții cu HPN, proteinele complement sunt hiperactive și afectează celulele proprii ale pacienților. Blocând proteina complement C3, Aspaveli împiedică proteinele complement să deterioreze celulele, contribuind astfel la ameliorarea simptomelor HPN.

Ce beneficii a prezentat Aspaveli pe parcursul studiilor?

Aspaveli s-a dovedit eficace în prevenirea descompunerii globulelor roșii și a creșterii nivelurilor hemoglobinei în sânge într-un studiu care a cuprins pacienți cu HPN care fuseseră tratați cu eculizumab cel puțin 3 luni, dar care erau încă anemici.

Studiul a fost efectuat la 80 de pacienți cu HPN tratați în prezent cu eculizumab, un medicament numit inhibitor de complement, dar care erau încă anemici (nivel de hemoglobină <10,5 g/dl) în pofida acestui tratament. Pacienții au fost trecuți pe Aspaveli sau și-au continuat tratamentul cu eculizumab. După 16 săptămâni, nivelurile de hemoglobină la pacienții cărora li s-a administrat Aspaveli au crescut în medie cu 2,37 g/dl, în timp ce la pacienții care erau încă tratați cu eculizumab au scăzut în medie cu 1,47 g/dl. În această perioadă, 6 din 41 de pacienți cărora li s-a administrat/care au primit Aspaveli au avut nevoie de o transfuzie de sânge, față de 33 din 39 din cei tratați cu eculizumab.

Un al doilea studiu a evaluat utilizarea Aspaveli la 53 de pacienți cu HPN cărora nu li s-a administrat/care nu primiseră un inhibitor de complement în cele 3 luni premergătoare studiului. Aspaveli a fost mai eficace decât tratamentul de susținere (tratamentul pentru prevenirea sau ameliorarea simptomelor bolii) în controlarea descompunerii globulelor roșii și stabilizarea valorilor hemoglobinei. După 26 de săptămâni de tratament, valorile hemoglobinei s-au stabilizat (adică nu au scăzut cu mai mult de 1 g/dl, pacientul neavând nevoie de transfuzie de sânge) la aproximativ 86 % din pacienții tratați cu Aspaveli (30 din 35), comparativ cu niciunul din cei care au făcut tratament de susținere (0 din 18).

Studiul a evaluat și efectul tratamentului asupra nivelurilor sanguine de lactat dehidrogenază (LDH; un marker de leziuni tisulare care are valori mari când globulele roșii se descompun). După 26 de săptămâni, pacienții tratați cu Aspaveli au avut o scădere medie de 1 870 unități/litru a valorii LDH față de o scădere medie de 400 unități/litru la cei tratați cu tratament de susținere. În această perioadă, aproximativ 91 % din cei cărora li s-a administrat/care au primit Aspaveli (32 din 35) nu au necesitat transfuzie, față de 6 % din cei cărora li s-a administrat/care au primit tratament de susținere (1 din 18).

Care sunt riscurile asociate cu Aspaveli?

Pentru lista completă de reacții adverse și restricții, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Aspaveli (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt reacții la locul injectiei (înroșirea pielii, mâncărime, umflare, învinețire și durere la locul injectiei), infecții ale căilor respiratorii superioare (nas și gât), dureri abdominale (de burtă), diaree, hemoliză, dureri de cap, oboseală, febră, tuse, infecții urinare, dureri la nivelul membrelor (brațe sau picioare), amețeli, dureri articulare și de spate și complicații asociate cu vaccinarea. Cele mai grave reacții adverse sunt hemoliză (care poate afecta mai mult de 1 persoană din 10) și septicemie (infecția sângelui; care poate afecta până la 1 persoană din 10).

Pe baza mecanismului său de acțiune, Aspaveli poate mări riscul de infecții. Aspaveli este contraindicat la pacienți cu infecții active cauzate de anumite bacterii numite bacterii încapsulate, printre care *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* și *Haemophilus influenzae*. De asemenea, medicamentul este contraindicat la pacienți care nu sunt vaccinați în prezent împotriva acestor bacterii, cu excepția cazului în care iau antibiotice adecvate pentru a reduce riscul de infecție timp de două săptămâni după vaccinare.

De ce a fost autorizat Aspaveli în UE?

Aspaveli este eficace în creșterea nivelurilor de hemoglobină în sânge la pacienții cu HPN care fuseseră tratați cu ecolizumab cel puțin 3 luni, dar care erau încă anemici. Aspaveli a fost, de asemenea, mai eficace decât tratamentul de susținere pentru HPN la stabilizarea nivelurilor de hemoglobină și la controlul descompunerii globulelor roșii la pacienții care nu au fost tratați cu inhibitori de complement cel puțin 3 luni. De asemenea, a redus nevoia de transfuzii de sânge la pacienții cu HPN. Cu toate acestea, la pacienții care nu fuseseră tratați cu inhibitori de complement cel puțin 3 luni, incertitudinile legate de modul în care a fost conceput studiul au limitat evaluarea beneficiilor și riscurilor asociate cu Aspaveli la acești pacienți.

În ceea ce privește siguranța, deși datele privind siguranța sunt limitate din cauza numărului mic de pacienți cuprinși în studiile principale, reacțiile adverse la Aspaveli sunt considerate gestionabile terapeutic, având în vedere măsurile instituite pentru reducerea la minimum a riscurilor asociate.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Aspaveli sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Aspaveli?

Compania care comercializează Aspaveli se va asigura că distribuția medicamentului se face numai după verificarea vaccinării corespunzătoare a pacientului. De asemenea, compania va pune la dispoziția medicilor care prescriu medicamentul și a pacienților informații privind siguranța medicamentului și va reaminti medicilor care prescriu și farmaciștilor să verifice dacă pacienții care iau Aspaveli au nevoie de vaccinare suplimentară. Pacienții vor primi și un card special în care li se explică simptomele anumitor tipuri de infecții și li se dau instrucțiuni privind necesitatea de a solicita imediat asistență medicală dacă apar simptomele respective.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Aspaveli, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Aspaveli sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Aspaveli sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Aspaveli

Aspaveli a primit autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 13 decembrie 2021.

Mai multe informații despre Aspaveli se pot găsi pe site-ul agenției:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli.

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 02-2024.