



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/51587/2024
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 u dospelých na liečbu paroxyzmálnej nočnej hemoglobínúrie (PNH), získaného ochorenia, pri ktorom dochádza k nadmernému rozpadu červených krviniek (hemolýze), čo vedie k uvoľneniu veľkého množstva hemoglobínu (proteínu v červených krvinkách, ktorý prenáša kyslík v tele) do moču. Liek Aspaveli sa používa u pacientov s PNH, ktorí majú anémiu (nízku hladinu červených krviniek) v dôsledku hemolýzy.

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 (kvapkania) pod kožu v oblasti brucha, stehien, bedrových kĺbov alebo hornej časti ramien. Liek sa podáva dvakrát týždenne (v 1. a 4. deň). Pacienti si liek môžu podávať sami, ak to ich lekár považuje za vhodné a ak na to boli zaškolení. Pokiaľ neexistuje klinický dôvod na zastavenie liečby, liečba liekom Aspaveli pokračuje počas celého života.

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

Akým spôsobom liek Aspaveli účinkuje?

Liečivo lieku Aspaveli, pegcetakoplan, sa skladá z dvoch syntetických peptidov (krátkych reťazcov aminokyselín), ktoré sú navzájom prepojené. Viaže sa na proteín komplementu C3, ktorý je súčasťou imunitného systému (prirodzenej obrany tela), ktorý sa nazýva komplementový systém.

U pacientov s PNH sú proteíny komplementu nadmerne aktívne a poškodzujú vlastné bunky pacienta. Zablokovaním proteínu komplementu C3 liek Aspaveli bráni proteínom komplementu poškodzovať bunky, čím pomáha zmierniť symptómy PNH.

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



Aké prínosy lieku Aspaveli boli preukázané v štúdiách?

V štúdií s pacientmi s PNH, ktorí boli liečení ekulizumabom najmenej tri mesiace, ale stále boli anemickí, sa preukázalo, že liek Aspaveli je účinný pri prevencii rozpadu červených krviniek a zvyšovaní hladiny hemoglobínu v krvi.

Štúdia sa uskutočnila u 80 pacientov s PNH, ktorí sú v súčasnosti liečení ekulizumabom, liekom známym ako inhibítor komplementu, ale ktorí napriek tejto liečbe boli stále 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 sa podával liek Aspaveli, zvýšila v priemere o 2,37 g/dl, zatiaľ čo u pacientov, ktorí boli stále liečení ekulizumabom, sa znížila v priemere o 1,47 g/dl. Počas tohto obdobia potrebovalo krvnú transfúziu 6 zo 41 pacientov, ktorým sa podával liek Aspaveli, v porovnaní s 33 z 39 osôb liečených ekulizumabom.

V druhej štúdií sa hodnotilo používanie lieku Aspaveli u 53 pacientov s PNH, ktorí počas 3 mesiacov pred uskutočnením štúdie nedostali inhibítor komplementu. Liek Aspaveli bol účinnejší ako podporná starostlivosť (liečba na prevenciu alebo zmiernenie príznakov ochorenia) pri kontrole rozpadu červených krviniek a stabilizácii hladiny hemoglobínu. Po 26 týždňoch liečby sa hladina hemoglobínu stabilizovala (to znamená, že sa neznížila o viac ako 1 g/dl bez toho, aby pacient podstúpil transfúziu krvi) u približne 86 % pacientov liečených liekom Aspaveli (30 z 35) v porovnaní so žiadnym pacientom liečeným podpornou starostlivosťou (0 z 18).

V štúdií sa hodnotil aj účinok liečby na hladinu laktátdehydrogenázy (LDH, markeru poškodenia tkaniva, ktorého množstvo sa zvýši, keď sa rozpadnú červené krvinky) v krvi. Po 26 týždňoch sa u pacientov liečených liekom Aspaveli zaznamenalo priemerné zníženie hladiny LDH o 1 870 jednotiek/l v porovnaní s priemerným znížením o 400 jednotiek/l u pacientov liečených podpornou starostlivosťou. Počas tohto obdobia nepotrebovalo transfúziu približne 91 % pacientov, ktorým sa podával liek Aspaveli (32 z 35), v porovnaní so 6 % pacientov, ktorým sa poskytovala podporná starostlivosť (1 z 18).

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Aspaveli?

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

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Aspaveli (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú reakcie v mieste podania injekcie (začervenanie kože, svrbenie, opuch, podliatie a bolesť v mieste podania injekcie), infekcia horných dýchacích ciest (nosa a hrdla), bolesť brucha, hnačka, hemolýza, bolesť hlavy, únava, horúčka, kašeľ, infekcia močových ciest, bolesť končatiny (ramena alebo nohy), závrat, bolesť kĺbov a chrbta a komplikácie pri očkovaní. Najvážnejšie vedľajšie účinky sú hemolýza (ktorá môže postihnúť viac ako 1 osobu z 10) a sepsa (otrava krvi; ktorá môže 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 baktérie *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* a *Haemophilus influenzae*. Nesmie sa používať ani u pacientov, ktorí nie sú v súčasnosti očkovaní proti týmto baktériám, pokiaľ neužívajú vhodné antibiotiká na zníženie rizika infekcie počas dvoch týždňov po očkovaní.

Prečo bol liek Aspaveli povolený v EÚ?

Liek Aspaveli je účinný pri zvyšovaní hladiny hemoglobínu u pacientov s PNH, ktorí boli liečení ekulizumabom najmenej tri mesiace, ale stále boli anemickí. Liek Aspaveli bol tiež účinnejší ako podporná starostlivosť v prípade PNH pri stabilizácii hladiny hemoglobínu a kontrole rozpadu červených

krviniek u pacientov, ktorí neboli liečení inhibítormi komplementu najmenej 3 mesiace. Takisto znížil potrebu krvných transfúzií u pacientov s PNH. Vzhľadom na nejasnosti súvisiace s návrhom štúdie u pacientov, ktorí neboli liečení inhibítormi komplementu počas minimálne 3 mesiacov, sa však hodnotenie prínosov a rizík lieku Aspaveli u týchto pacientov obmedzilo.

Pokiaľ ide o bezpečnosť, aj keď sú údaje o bezpečnosti obmedzené z dôvodu malého počtu pacientov zaradených do hlavných štúdií, vedľajšie účinky lieku Aspaveli sa považujú vzhľadom na zavedené opatrenia na minimalizovanie jeho rizika za zvládnuteľné.

Európska agentúra pre lieky preto 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 dostávajúcich 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

Lieku Aspaveli bolo 13. decembra 2021 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

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

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 02-2024