



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (*pegcetacoplan*)

Общ преглед на Aspaveli и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Aspaveli и за какво се използва?

Aspaveli е лекарствен продукт, който се използва за лечение на:

- възрастни с пароксизмална нощна хемоглобинурия (ПНХ) — придобито заболяване, при което се наблюдава прекомерно разграждане на червените кръвни клетки (хемолиза), водещо до отделяне в урината на големи количества хемоглобин (белтъкът в червените кръвни клетки, който пренася кислорода в организма). Aspaveli се използва при пациенти с ПНХ, които имат анемия (ниски нива на червени кръвни клетки) поради хемолиза.
- възрастни и юноши на възраст от 12 до 17 години с гломерулна нефропатия, обусловена от фактор 3 на комплемента (C3G), или първичен имунокомплексен мембранопролиферативен гломерулонефрит (IC-MPGN), или в комбинация с инхибитор на RAS (лекарствен продукт, който действа върху ренин-ангиотензиновата система), или самостоятелно при пациенти, които не могат да приемат инхибитор на RAS. C3G и IC-MPGN са заболявания, при които имунната система по погрешка уврежда филтриращите структури на бъбреците. В резултат се нарушава ефективното филтриране на кръвта, което води до натрупване на токсични вещества в организма, понижено отделяне на урина и подуване.

ПНХ, C3G и IC-MPGN се считат за редки и Aspaveli е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания). Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на уебсайта на EMA (ПНХ: [22 май 2017 г.](#); C3G със или без имунни комплекси: [10 ноември 2022 г.](#)).

Aspaveli съдържа активното вещество пегцетакоплан (*pegcetacoplan*).

Как се използва Aspaveli?

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание. Лечението трябва да започне под наблюдението на медицински специалист с опит в лечението на нарушения, свързани с кръвта или бъбреците.

Aspaveli се прилага под формата на инфузия под кожата на корема, бедрата, хълбоците или мишницата два пъти седмично (на 1-вия и 4-тия ден). Пациентите могат сами да си прилагат



лекарството, ако лекарят прецени, че е подходящо, и ако са обучени да го правят. Освен ако няма клинична причина за спиране на лечението, Aspaveli продължава през целия живот.

За повече информация относно употребата на Aspaveli вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Aspaveli?

Активното вещество в Aspaveli, пегцетакоплан, е съставено от два синтетични пептида (къси вериги от аминокиселини), които са свързани помежду си. То се свързва с белтъка C3 на комплемента, който е част от имунната система (естествената защита на организма), наречена „система на комплемента“.

При хора с ПНХ белтъците на комплемента са свръхактивни и увреждат кръвните клетки на пациентите. Като блокира белтъка C3 на комплемента, Aspaveli предотвратява увреждането на кръвните клетки от белтъците на комплемента, като по този начин спомага за облекчаване на симптомите на ПНХ.

При хора с C3G и първичен IC-MPGN в бъбреците се натрупват продукти от разграждането на белтъка C3 на комплемента, които ги увреждат и водят до намалена бъбречна функция. Като блокира белтъка C3 на комплемента, Aspaveli намалява натрупването на продукти от разграждането на C3 в бъбреците, като по този начин предотвратява по-нататъшното увреждане на бъбреците.

Какви ползи от Aspaveli са установени в проучванията?

Пароксизмална нощна хемоглобинурия (ПНХ)

В проучване, обхващащо пациенти с ПНХ, които са лекувани с екулизумаб в продължение на най-малко 3 месеца, но все още са анемични, е показано, че Aspaveli е ефективен за предотвратяване на разграждането на червените кръвни клетки и за повишаване на нивата на хемоглобина в кръвта.

Проучването обхваща 80 възрастни с ПНХ, които се лекуват с екулизумаб — лекарствен продукт, известен като инхибитор на комплемента, които обаче все още са анемични (ниво на хемоглобина <10,5 g/dl) въпреки това лечение. Пациентите са преминали на Aspaveli или са продължили лечението с екулизумаб. След 16 седмици нивата на хемоглобина при пациентите, приемащи Aspaveli, се увеличават средно с 2,37 g/dl, докато при пациентите, които все още се лекуват с екулизумаб, намаляват средно с 1,47 g/dl. През този период 6 от 41 пациенти, на които е прилаган Aspaveli, се нуждаят от кръвопреливане в сравнение с 33 от 39, лекувани с екулизумаб.

Второ проучване оценява употребата на Aspaveli при 53 възрастни с ПНХ, които не са получавали инхибитор на комплемента през трите месеца преди проучването. Aspaveli е по-ефективен от поддържащо лечение (лечение за предотвратяване или облекчаване на симптомите на заболяването) за контролиране на разграждането на червените кръвни клетки и стабилизиране на нивата на хемоглобина. След 26 седмици на лечение нивата на хемоглобина се стабилизират (което означава, че не се понижават с повече от 1 g/dl, без пациентът да има кръвопреливане) при около 86 % от пациентите, приемали Aspaveli (30 от 35), в сравнение с нито един от пациентите, които са получили поддържащо лечение (0 от 18).

В проучването също така се оценява ефектът от лечението върху нивата на лактатдехидрогеназа в кръвта (LDH — маркер за увреждане на тъканите, който се увеличава при разпадане на червените кръвни клетки). След 26 седмици на лечение пациентите, на които е приложен Aspaveli, имат средно намаление от 1 870 единици/l в нивата на LDH в сравнение със средно

намаление от 400 единици/l при пациентите, получили поддържащо лечение. През този период около 91 % от пациентите, на които е приложен Aspaveli (32 от 35), не се нуждаят от кръвопреливане в сравнение с 6 % от пациентите, на които е приложено поддържащо лечение (1 от 18).

Гломерулна нефропатия, обусловена от фактор 3 на комплемента (C3G), и първичен имунокомплексен мембранопролиферативен гломерулонефрит (IC-MPGN)

Показано е, че Aspaveli е по-ефективен от плацебо (сляпо лечение) за намаляване на бъбречното увреждане при възрастни и юноши на възраст над 12 години с C3G или първичен IC-MPGN.

В едно основно проучване, обхващащо 124 възрастни и юноши на възраст над 12 години с C3G или IC-MPGN, на участниците е прилаган Aspaveli или плацебо два пъти седмично. Основната мярка за ефективност е намаляването на протеинурията (белтък в урината). Тъй като здравите бъбреци задържат почти всички белтъци в кръвта, наличието на белтък в урината показва увреждане на бъбреците. След 26 седмици на лечение при хората, приемащи Aspaveli, се наблюдава приблизително 68 % намаление на нивата на белтъци в урината в сравнение с пациентите, приемащи плацебо. Този ефект се запазва след 1 година на лечение.

Какви са рисковете, свързани с Aspaveli?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Aspaveli вижте листовката.

При хора с ПНХ най-честите нежелани реакции при Aspaveli (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) включват реакции на мястото на инфузията (зачервяване на кожата, сърбеж, подуване, посиняване и болка), инфекции на горните дихателни пътища (носа и гърлото), абдоминална (коремна) болка, диария, хемолиза, главоболие, умора, повишена температура, кашлица, инфекция на пикочните пътища (инфекция на частите на тялото, които събират и отделят урина), болка в крайниците (ръцете или краката), замаяност, болка в ставите, болка в гърба и усложнения при ваксинация. Някои нежелани реакции могат да бъдат сериозни. Най-честите сериозни нежелани реакции включват хемолиза (която може да засегне повече от 1 на 10 души) и сепсис (отравяне на кръвта, което може да засегне не повече от 1 на 10 души).

При хора с C3G или първичен IC-MPGN най-честите нежелани реакции при Aspaveli (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) са реакции на мястото на инфузията и инфекции на горните дихателни пътища. Най-честите сериозни нежелани реакции са остро бъбречно увреждане (внезапно увреждане на бъбреците, което води до нарушена функция) и пневмония (инфекция на белите дробове).

Въз основа на своя механизъм на действие Aspaveli може да повиши риска от инфекции. Aspaveli не трябва да се използва при пациенти с активна инфекция, причинена от определени бактерии, известни като капсулирани бактерии, включително *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* и *Haemophilus influenzae*. Също така не трябва да се прилага при пациенти, които понастоящем не са ваксинирани срещу тези бактерии, освен ако не приемат подходящи антибиотици за намаляване на риска от инфекция в продължение на две седмици след ваксинацията.

Защо Aspaveli е разрешен за употреба в ЕС?

Aspaveli е ефективен за повишаване на нивата на хемоглобина в кръвта при възрастни с ПНХ, които са лекувани с екулизумаб в продължение на най-малко 3 месеца, но все още имат анемия. Aspaveli е по-ефективен и от поддържащото лечение за стабилизиране на нивата на хемоглобина и контролиране на разграждането на червените кръвни клетки при възрастни с ПНХ, които не са

лекувани с инхибитори на комплемента в продължение на най-малко 3 месеца. Също така намалява необходимостта от кръвопреливане при възрастни с ПНХ. Въпреки това съмненията, свързани с дизайна на проучването при пациенти, които не са лекувани с инхибитори на комплемента в продължение на най-малко 3 месеца, ограничават оценката на ползите и рисковете от Aspaveli при тези пациенти.

Aspaveli е ефективен и за намаляване на протеинурията при възрастни и юноши на възраст над 12 години с С3G или първичен IC-MPGN, което е показател за ограничаване на бъбречното увреждане. Въпреки че не е напълно доказано, че намаляването на протеинурията предполага дългосрочна бъбречна функция, наличните данни се считат за достатъчни за доказване на ефективността на Aspaveli при възрастни и юноши на възраст над 12 години с С3G или първичен IC-MPGN.

По отношение на безопасността, въпреки че данните за нея са ограничени поради малкия брой пациенти в основните проучвания, нежеланите реакции при Aspaveli се считат за управляеми при спазване на въведените мерки за свеждане до минимум на риска от него.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Aspaveli са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Aspaveli?

Фирмата, която предлага Aspaveli, ще гарантира, че отпускането на лекарството става само след проверка дали пациентът е получил съответната ваксина. Освен това фирмата ще предостави на предписващите лица и пациентите информация за безопасността на лекарството и ще изпрати напомняне до предписващите лица и фармацевтите, за да проверят дали е необходима допълнителна ваксинация на пациентите, приемащи Aspaveli. На пациентите ще бъде предоставена също специална карта с обяснения за симптомите на определени видове инфекции и указания да потърсят незабавно медицинска помощ, ако възникнат такива симптоми.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Aspaveli, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Aspaveli непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Aspaveli, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Aspaveli:

Aspaveli получава разрешение за употреба, валидно в ЕС, на 13 декември 2021 г.

Допълнителна информация за Aspaveli можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli.

Дата на последно актуализиране на текста 01-2026.