



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/603278/2021
EMA/H/C/005553

Aspaveli (*pegcetacoplan*)

Información general sobre Aspaveli y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Aspaveli y para qué se utiliza?

Aspaveli es un medicamento indicado para el tratamiento de adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN), un trastorno en el que se produce una degradación excesiva de los glóbulos rojos (hemólisis), lo que da lugar a la liberación a la orina de grandes cantidades de hemoglobina (la proteína de los glóbulos rojos que transporta el oxígeno por el organismo). Aspaveli se utiliza en pacientes que siguen presentando anemia (niveles bajos de glóbulos rojos) a pesar del tratamiento con un tipo de medicamento denominado inhibidor de C5 durante al menos 3 meses.

La hemoglobinuria paroxística nocturna es una enfermedad «rara», y Aspaveli fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 22 de mayo de 2017. Puede encontrar información adicional sobre las designaciones como medicamento huérfano en: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Aspaveli contiene el principio activo pegcetacoplan.

¿Cómo se usa Aspaveli?

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica. El tratamiento debe iniciarse bajo la supervisión de un profesional sanitario con experiencia en el tratamiento de los trastornos relacionados con la sangre.

Aspaveli se administra mediante perfusión (goteo) bajo la piel del abdomen, el muslo o la parte superior del brazo. Se administra dos veces por semana (los días 1 y 4).

Los pacientes deben seguir recibiendo el inhibidor C5 durante 4 semanas después de iniciar el tratamiento con Aspaveli antes de interrumpir la administración del inhibidor C5.

Los pacientes pueden administrarse ellos mismos el goteo una vez que se les haya enseñado a hacerlo.

Para mayor información sobre el uso de Aspaveli, consulte el prospecto o contacte con su médico o farmacéutico.

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



¿Cómo actúa Aspaveli?

Aspaveli está compuesto por dos péptidos sintéticos (cadenas cortas de aminoácidos) unidos entre sí, que están dirigidos y se adhieren a la proteína del complemento C3, que forma parte del sistema de defensa del organismo denominado «sistema del complemento».

En los pacientes con HPN, las proteínas del complemento están sobreactivas y dañan a las propias células del paciente. Al bloquear la proteína del complemento C3, Aspaveli evita que las proteínas del complemento ataquen a las células, ayudando así a aliviar los síntomas de esta enfermedad.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Aspaveli en los estudios realizados?

Aspaveli demostró ser eficaz para prevenir la degradación de la hemoglobina y aumentar sus niveles en sangre en pacientes con HPN que habían sido tratados con eculizumab durante al menos 3 meses pero seguían presentando anemia.

El estudio principal se realizó en 80 pacientes con HPN que estaban siendo tratados actualmente con eculizumab, un inhibidor de C5, pero que seguían siendo anémicos (nivel de hemoglobina < 10,5 g/dl) a pesar de este tratamiento. Los pacientes cambiaron a Aspaveli o continuaron el tratamiento con eculizumab. Al cabo de 16 semanas, los niveles de hemoglobina en los pacientes tratados con Aspaveli aumentaron por término medio 2,37 g/dl, mientras que disminuyeron 1,47 g/dl por término medio en los pacientes que seguían recibiendo tratamiento con eculizumab. Durante este periodo, 6 de 41 personas a las que se administró Aspaveli necesitaron una transfusión sanguínea, en comparación con 33 de 39 tratadas con eculizumab.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Aspaveli?

Los efectos adversos más frecuentes de Aspaveli (pueden afectar a más de 1 de cada 10 personas) son reacciones en el lugar de la inyección (enrojecimiento de la piel, picor, hinchazón y dolor en el lugar), infección de las vías respiratorias superiores, dolor abdominal, diarrea, dolor de cabeza, cansancio y fiebre. Los efectos adversos más graves son hemólisis (descomposición de los glóbulos rojos) y trombocitopenia (niveles bajos de plaquetas), que pueden afectar hasta a 1 de cada 10 personas.

Basándose en su mecanismo de acción, Aspaveli puede aumentar el riesgo de infecciones. Aspaveli no debe utilizarse en pacientes con una infección en curso causada por determinadas bacterias conocidas como bacterias encapsuladas, como *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* o *Haemophilus influenzae*. Tampoco debe utilizarse en pacientes que no estén actualmente vacunados contra la infección por estas bacterias. Las personas vacunadas deben tomar antibióticos adecuados para reducir el riesgo de infección durante dos semanas después de la vacunación.

La lista completa de efectos adversos y restricciones se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Aspaveli en la UE?

Se ha demostrado que Aspaveli es eficaz para aumentar los niveles de hemoglobina en sangre en pacientes con HPN que habían sido tratados con eculizumab durante al menos 3 meses pero seguían presentando anemia. También redujo la necesidad de transfusiones sanguíneas en estos pacientes. En términos de seguridad, aunque los datos sobre seguridad son limitados debido al pequeño número de pacientes incluidos en el estudio principal, los efectos adversos de Aspaveli se consideran controlables, teniendo en cuenta las medidas de minimización de riesgos existentes.

La Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Aspaveli son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Aspaveli?

La compañía que comercializa Aspaveli garantizará que la distribución del medicamento solo tenga lugar tras verificar que el paciente ha sido vacunado adecuadamente. La empresa también facilitará a los médicos y a los pacientes información sobre la seguridad del medicamento, y enviará recordatorios para comprobar si es necesaria cualquier vacunación posterior de los pacientes tratados con Aspaveli. Los pacientes también recibirán una tarjeta especial en la que se expliquen los síntomas de algunos tipos de infecciones, y se les indique la necesidad de solicitar atención médica inmediata si se presentan dichos síntomas.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Aspaveli se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Aspaveli se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados con Aspaveli se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Aspaveli

Puede encontrar información adicional sobre Aspaveli en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli.