



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (*pegsetakoplaani*)

Yleistiedot Aspaveli-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Aspaveli on ja mihin sitä käytetään?

Aspaveli on lääke, jolla hoidetaan aikuisten kohtauksittaista yöllistä hemoglobiinivirtsaisuutta (PNH). Se on hankinnainen sairaus, jossa punasolut hajoavat liikaa (hemolyysi), jolloin virtsaan vapautuu suuria määriä hemoglobiinia (veren punasolujen proteiini, joka kuljettaa happea kehon eri osiin). Aspavelia käytetään PNH-potilailla, joilla on hemolyyysistä johtuva anemia (punasolujen vähyys).

Kohtauksittainen yöllinen hemoglobiinivirtsaisuus on harvinainen sairaus, ja Aspaveli nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 22. toukokuuta 2017. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873

Aspavelin vaikuttava aine on pegsetakoplaani.

Miten Aspavelia käytetään?

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoito on aloitettava verisairauksien hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

Aspaveli annetaan infuusiona (tiputuksena) ihon alle vatsaan, reiteen, lonkkaan tai olkavarteen. Sitä annetaan kahdesti viikossa (päivinä 1 ja 4). Potilaat voivat huolehtia infuusiohoidosta itse, jos lääkäri pitää sitä asianmukaisena ja jos he ovat saaneet siihen opastuksen. Aspavelin käyttöä jatketaan koko eliniän ajan, ellei hoidon lopettamiseen ole kliinistä syytä.

Lisätietoja Aspavelin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Aspaveli vaikuttaa?

Aspavelin vaikuttava aine pegsetakoplaani valmistetaan kahdesta synteettisestä peptidistä (lyhyistä aminohappoketjuista), jotka ovat sidoksissa toisiinsa. Pegsetakoplaani kiinnittyy C3-komplementtiproteiiniin, joka on osa immuunijärjestelmää (kehon luonnollista puolustusjärjestelmää), jota kutsutaan komplementtijärjestelmäksi.

Kohtauksittaista yöllistä hemoglobiinivirtsaisuutta sairastavien potilaiden komplementtiproteiinit ovat yliaktiivisia ja vaurioittavat potilaan soluja. Salpaamalla C3-komplementtiproteiinin toiminnan Aspaveli estää komplementtiproteiineja vahingoittamasta soluja ja auttaa siten lievittämään PNH:n oireita.

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



Mitä hyötyä Aspavelista on havaittu tutkimuksissa?

Aspavelin osoitettiin ehkäisevän tehokkaasti punasolujen hajoamista ja lisäävän veren hemoglobiinipitoisuutta tutkimuksessa, johon osallistui yöllistä hemoglobiinivirtsaisuutta sairastavia potilaita, joita oli hoidettu ekulitsumabilla vähintään kolme kuukautta, mutta jotka olivat edelleen aneemisia.

Tutkimus tehtiin 80 PNH-potilaalla, joita hoidettiin tutkimuksen alkaessa ekulitsumabilla, joka on komplementin estäjänä tunnettu lääke, mutta jotka olivat hoidosta huolimatta edelleen aneemisia (hemoglobiinipitoisuus <10,5 g/dl). Potilaat joko siirtyivät käyttämään Aspavelia tai jatkoivat ekulitsumabihoitoa. 16 viikon jälkeen hemoglobiinipitoisuus Aspaveli-hoitoa saaneilla potilailla kasvoi keskimäärin 2,37 g/dl ja laski keskimäärin 1,47 g/dl potilailla, jotka saivat edelleen ekulitsumabia. Tänä aikana Aspavelia saaneista 41 potilaasta kuusi tarvitsi verensiirron, kun ekulitsumabia saaneiden vastaava määrä oli 33 potilasta 39:stä.

Toisessa tutkimuksessa arvioitiin Aspavelin käyttöä 53 PNH-potilaalla, jotka eivät olleet saaneet komplementin estäjää tutkimusta edeltäneiden kolmen kuukauden aikana. Aspaveli oli tehokkaampi kuin tukihoito (hoito sairauden oireiden ehkäisemiseksi tai lieventämiseksi) punaisten verisolujen hajoamisen hallinnassa ja hemoglobiinipitoisuuden vakauttamisessa. Hemoglobiinipitoisuus oli vakaa 26 hoitoviikon jälkeen (mikä tarkoittaa, että se laski enintään 1 g/dl, eikä potilaalle ollut tehty verensiirtoa) noin 86 prosentilla Aspaveli-hoitoa saaneista potilaista (30 potilaalla 35:stä), kun tukihoitoa saaneista potilaista pitoisuus ei ollut yhdelläkään vakaa (0 potilasta 18:sta).

Tutkimuksessa arvioitiin myös hoidon vaikutusta veren laktaattidehydrogenaasipitoisuuteen (LDH, kudosten vaurioitumisen merkkiaine, joka lisääntyy, kun punasolut hajoavat). Aspavelia saaneiden potilaiden LDH-pitoisuus oli alentunut 26 viikon jälkeen keskimäärin 1 870 yksikköä/l, kun tukihoitoa saaneilla se väheni keskimäärin 400 yksikköä/l. Tänä aikana noin 91 prosenttia Aspavelia saaneista potilaista (32 potilasta 35:stä) ei tarvinnut verensiirtoa, kun vastaava osuus tukihoitoa saaneista oli 6 prosenttia (1 potilas 18:sta).

Mitä riskejä Aspaveliin liittyy?

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Aspavelin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat pistoskohdan reaktiot (ihon punoitus, kutina, turvotus, mustelmat ja kipu), ylähengitysteiden (nenän ja nielun) infektiot, vatsakipu, ripuli, hemolyysi, päänsärky, väsymys, kuume, yskä, virtsatieinfektio, raajojen kipu, huimaus, nivel- ja selkäkipu sekä rokottamisen yhteydessä esiintyvät komplikaatiot. Vakavimpia haittavaikutuksia ovat hemolyysi (jota saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ja sepsis (verenmyrkytys, jota saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä).

Vaikutusmekanisminsa takia Aspaveli voi lisätä infektioriskiä. Aspavelia ei saa antaa potilaille, joilla on tiettyjen ns. kapseloituneiden bakteerien, kuten *Neisseria meningitidis*en, *Streptococcus pneumoniae*en ja *Haemophilus influenzae*n, aiheuttama infektio. Sitä ei myöskään saa antaa potilaille, joita ei ole tällä hetkellä rokotettu näitä bakteereja vastaan, elleivät he ota asianmukaisia antibiootteja infektioriskin vähentämiseksi kahden viikon ajan rokotuksen jälkeen.

Miksi Aspaveli on hyväksytty EU:ssa?

Aspaveli lisäsi tehokkaasti veren hemoglobiinipitoisuutta PNH:ta sairastavilla potilailla, joita oli hoidettu ekulitsumabilla vähintään kolme kuukautta, mutta jotka olivat edelleen aneemisia. Aspaveli oli myös PNH:n tukihoitoa tehokkaampi hemoglobiiniarvojen vakauttamisessa ja punasolujen hajoamisen

hallinnassa potilailla, joita ei ollut hoidettu komplementin estäjillä vähintään kolmen kuukauden ajan. Se vähensi myös verensiirtojen tarvetta PNH-potilailla. Tutkimuksen suunnitteluun liittyvät epävarmuustekijät potilailla, joita ei ollut hoidettu komplementin estäjillä vähintään kolmen kuukauden ajan, rajoittivat Aspavelin hyötyjen ja riskien arviointia näillä potilailla.

Turvallisuuden osalta voidaan todeta, että vaikka turvallisuutta koskevia tietoja on vähän päätutkimuksiin osallistuneiden potilaiden vähäisen määrän vuoksi, Aspavelin haittavaikutuksia pidetään hallittavina, kun otetaan huomioon sen riskien minimoimiseksi käytössä olevat toimenpiteet.

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Aspavelista saatava hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Aspavelin turvallinen ja tehokas käyttö?

Aspaveli-valmistetta markkinoiva yhtiö varmistaa, että lääkettä annetaan vain, kun on varmistettu, että potilas on rokotettu asianmukaisesti. Yhtiö toimittaa lääkettä määrääville lääkäreille ja sitä saaville potilaille myös tietoa lääkkeen turvallisuudesta. Se lähettää myös lääkettä määrääville lääkäreille ja farmaseuteille muistutuksen siitä, että Aspaveli-valmistetta saavien potilaiden mahdollinen uusintarokottamisen tarve on tarkistettava. Potilaille annetaan erityinen kortti, jossa selitetään tiettyjen infektiotyyppien oireet ja jossa potilaita neuvotaan hakeutumaan välittömästi hoitoon, jos kyseisiä oireita ilmenee.

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Aspavelin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Aspavelin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Aspaveli-valmisteesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Aspaveli-valmisteesta

Aspaveli sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 13. joulukuuta 2021.

Lisää tietoa Aspaveli-valmisteesta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 02-2024.