



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (*pegcetacoplan*)

Ħarsa ġenerali lejn Aspaveli u għaliex huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Aspaveli u għal xiex jintuża?

Aspaveli huwa mediċina li tintuża għat-trattament ta':

- adulti b'emoglobinurija notturna parossimali (PNH, paroxysmal nocturnal haemoglobinuria), marda akkwiziċa li fiha jkun hemm tkissir eċċessiv ta' ċelloli ħomor tad-demm (emoliżi), li twassal sabiex ammonti kbar ta' emoglobina (il-proteina fiċ-ċelloli ħomor tad-demm li ġgħorr l-ossigenu madwar il-ġisem) jiġu rilaxxati fl-awrina. Aspaveli jintuża f'pazjenti bil-PNH li jkollhom anemia (livelli baxxi ta' ċelloli ħomor tad-demm) minħabba l-emoliżi;
- adulti u adolexxenti li għandhom bejn 12 u 17-il sena bi glomerulopatija ta' komplement 3 (C3G, complement 3 glomerulopathy) jew glomerulonefrite membranoproliferattiva primarja b'kumpless immunitarju (IC-MPGN, immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis), jew flimkien ma' inibitur tar-RAS (mediċina li taġixxi fuq is-sistema tar-renin-anġjotensina) jew waħedhom f'pazjenti li ma jistgħux jieħdu inibitur tar-RAS. C3G u IC-MPGN huma mard li fih is-sistema immunitarja tagħmel ħsara bi żball lill-unitajiet ta' filtrazzjoni tal-kliwi; dan jipprevjeni lill-kliwi milli jiffiltraw id-demm b'mod korrett, u dan iwassal għal akkumulazzjoni ta' tossini, tnaqqis fil-produttjoni tal-awrina u nefħa.

PNH, C3G u IC-MPGN huma rari, u Aspaveli ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari). Aktar informazzjoni dwar id-desinjazzjonijiet orfni tista' tinstab fuq is-sit web tal-EMA (PNH: [22 ta' Mejju 2017](#); C3G b'kumplessi immunitarji jew mingħajrhom: [10 ta' Novembru 2022](#)).

Aspaveli fih is-sustanza attiva pegcetacoplan.

Kif jintuża Aspaveli?

Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib. It-trattament għandu jinbeda taħt is-superviżjoni ta' professjonista fil-qasam tal-kura tas-saħħa b'esperjenza fil-ġestjoni ta' disturbi relatati mad-demm jew tal-kliwi.

Aspaveli jingħata bħala infużjoni taħt il-ġilda fiż-żaqq, fil-koxox, fil-ġenbejn jew fil-parti ta' fuq tad-dirgħajn darbtejn fil-ġimgħa (fil-jiem 1 u 4). Il-pazjenti jistgħu jagħtu d-dripp lilhom infushom jekk it-tabib tagħhom iqis li dan ikun xieraq u jkun għew imħarrġa biex jagħmlu dan. Sakemm ma jkunx hemm raġuni klinika biex jitwaqqaf it-trattament, Aspaveli jitkompla tul ħajjithom kollha.

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



Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Aspaveli, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispjazzar tiegħek.

Kif jaħdem Aspaveli?

Is-sustanza attiva f'Aspaveli, il-pegcetacoplan, hija magħmula minn żewġ peptidi sintetici (ktajjen qosra ta' aċidi amminiċi) li huma marbutin flimkien. Din tehel mal-proteina tal-komplement C3, li hija parti mis-sistema immunitarja (id-difiżi naturali tal-ġisem) imsejha s-"sistema tal-komplement".

F'persuni bil-PNH, il-proteini tal-komplement huma attivi żżejjed u jagħmlu ħsara liċ-ċelloli tad-demem tal-pazjenti stess. Billi jimblokka l-proteina tal-komplement C3, Aspaveli jipprevjeni lill-proteini tal-komplement milli jagħmlu ħsara liċ-ċelloli, u b'hekk jgħin biex jittaffew is-sintomi tal-PNH.

F'persuni b'C3G u b'IC-MPGN primarja, il-prodotti tad-diżintegrazzjoni tal-proteina tal-komplement C3 jakkumulaw fil-kliwi, u jagħmlulhom ħsara u jwasslu għal tnaqqis fil-funzjoni tal-kliwi. Billi jimblokka l-proteina tal-komplement C3, Aspaveli jnaqqas l-akkumulazzjoni ta' prodotti ta' tkissir C3 fil-kliwi, u b'hekk jipprevjeni aktar ħsara fil-kliwi.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Aspaveli li ħarġu mill-istudji?

Emoglobinurija notturna parossismali (PNH)

Aspaveli ntwerha li huwa effettiv fil-prevenzjoni tat-tkissir ta' ċelloli ħomor tad-demem u fiż-żieda tal-livelli tal-emoglobina fid-demem fi studju li involva pazjenti bil-PNH li kienu ġew ittrattati b'eculizumab għal mill-inqas 3 xhur iżda li kienu għadhom anemiċi.

L-istudju involva 80 adult bil-PNH li kienu qed jiġu ttrattati b'eculizumab, medicina magħrufa bħala inibitur tal-komplement, iżda li kienu għadhom anemiċi (livell tal-emoglobina <10.5 g/dL) minkejja dan it-trattament. Il-pazjenti jew inqas għal Aspaveli jew komplew it-trattament b'eculizumab tagħhom. Wara 16-il ġimgħa, il-livelli ta' emoglobina f'pazjenti li kienu qed jirċievu Aspaveli żdiedu b'medja ta' 2.37 g/dL filwaqt li naqsu b'medja ta' 1.47 g/dL f'pazjenti li kienu għadhom qed jiġu ttrattati b'eculizumab. Matul dan il-perjodu, 6 minn 41 pazjent li ngħataw Aspaveli kellhom bżonn trasfużjoni tad-demem, meta mqabbla ma' 33 minn 39 li ġew ittrattati b'eculizumab.

It-tieni studju evalwa l-użu ta' Aspaveli fi 53 pazjent bil-PNH li ma kinux irċewew inibitur tal-komplement fit-3 xhur ta' qabel l-istudju. Aspaveli kien aktar effettiv mill-kura ta' sostenn (trattament biex jipprevjeni jew biex itaffi s-sintomi tal-marda) fil-kontroll tat-tkissir ta' ċelloli ħomor tad-demem u fl-istabbilizzazzjoni tal-livelli tal-emoglobina. Wara 26 ġimgħa ta' trattament, il-livelli tal-emoglobina ġew stabbilizzati (jiġifieri ma naqsux b'aktar minn 1 g/dL mingħajr ma l-pazjent kellu trasfużjoni tad-demem) f'madwar 86 % tal-pazjenti trattati b'Aspaveli (30 minn 35) meta mqabbla mal-ebda wieħed minn dawk ittrattati b'kura ta' sostenn (0 minn 18).

L-istudju evalwa wkoll l-effett tat-trattament fuq il-livelli fid-demem tal-lattatdeidroġenażi (LDH, lactate dehydrogenase), markatur għall-ħsara fit-tessut li jiżdied meta jtkissru ċ-ċelloli ħomor tad-demem. Wara 26 ġimgħa ta' trattament, il-pazjenti li ngħataw Aspaveli kellhom tnaqqis medju ta' 1,870 unità/L fil-livelli ta' LDH tagħhom meta mqabbla ma' tnaqqis medju ta' 400 unità/L f'dawk li ngħataw kura ta' sostenn. Matul dan il-perjodu, madwar 91 % ta' dawk li ngħataw Aspaveli (32 minn 35) ma kellhomx bżonn trasfużjoni, meta mqabbla ma' 6 % li ngħataw kura ta' sostenn (1 minn 18).

Glomerulopatija ta' Komplement 3 (C3G, complement 3 glomerulopathy) u glomerulonefrite membranoproliferattiva kumplessa tal-immunità primarja (IC-MPGN, immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis)

Aspaveli ntweru li huwa aktar effettiv mill-plaċebo (trattament finta) fit-tnaqqis tal-ħsara fil-kliwi fl-adulti u fl-adolesxenti mill-età ta' 12-il sena b'C3G jew b'IC-MPGN primarja.

Fi studju ewlieni li involva 124 adult u adolesxent minn 12-il sena 'l fuq b'C3G jew b'IC-MPGN, il-partecipanti ngħataw Aspaveli jew plaċebo darbtejn fil-ġimgħa. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien tnaqqis fil-proteinurja (proteina fl-awrina). Peress li kliwi b'saħħithom iżommu kważi l-proteini kollha fid-demm, il-preżenza ta' proteini fl-awrina tindika ħsara fil-kliwi. Wara 26 ġimgħa ta' trattament, il-persuni li ngħataw Aspaveli kellhom tnaqqis ta' madwar 68 % fil-livelli tal-proteini tal-awrina tagħhom meta mqabbla ma' dawk li ngħataw plaċebo. Dan l-effett inżamm wara sena (1) ta' trattament.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Aspaveli?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Aspaveli, ara l-fuljett ta' tagħrif.

F'persuni b'PNH, l-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Aspaveli (li jistgħu jaffettwaw lil aktar minn persuna 1 minn kull 10) jinkludu reazzjonijiet fis-sit tal-infużjoni (ħmura tal-ġilda, ħakk, nefħa, tbenġil u wġiġħ), infezzjoni fil-parti ta' fuq tal-apparat respiratorju (imnieher u griżmejn), uġiġħ addominali (fiż-żaqq), dijarea, emoliżi, uġiġħ ta' ras, għeja, deni, sogħla, infezzjoni fl-apparat tal-awrina (infezzjoni tal-partijiet tal-ġisem li jiġbru u jgħaddu l-awrina), uġiġħ fl-estremità (driegħ jew riġel), sturdament, uġiġħ fil-ġogi, uġiġħ fid-dahar u kumplikazzjonijiet bit-tilqim. Xi effetti sekondarji jistgħu jkunu serji. L-effetti sekondarji l-aktar serji jinkludu emoliżi (li tista' taffettwa aktar minn persuna 1 minn kull 10) u s-sepsi (avvelenament tad-demm; li jista' jaffettwa sa persuna 1 minn kull 10).

F'persuni b'C3G jew b'IC-MPGN primarja, l-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Aspaveli (li jistgħu jaffettwaw lil aktar minn persuna 1 minn kull 10) jinkludu reazzjonijiet fis-sit tal-infużjoni u infezzjonijiet fl-apparat respiratorju ta' fuq. L-effetti sekondarji serji l-aktar frekwenti jinkludu korrimment akut tal-kliwi (ħsara f'daqqa lill-kliwi li twassal sabiex il-kliwi ma jaħdmux sew) u pulmonite (infezzjoni tal-pulmun).

Abbażi tal-mekkaniżmu ta' azzjoni tiegħu, Aspaveli jista' jżid ir-riskju ta' infezzjonijiet. Aspaveli ma għandux jintuża f'pazjenti b'infezzjoni li tkun għadha għaddejja kkawżata minn ċerti batterji magħrufa bħala batterji inkapsulati, inkluż *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* u *Haemophilus influenzae*. Lanqas ma għandu jintuża f'pazjenti li attwalment mhumix imlaqqma kontra dawn il-batterji sakemm ma jiġdux antibijotiċi xierqa biex jitnaqqas ir-riskju ta' infezzjoni għal ġimagħtejn wara t-tilqim.

Għaliex Aspaveli ġie awtorizzat fl-UE?

Aspaveli huwa effettiv biex iżid il-livelli tal-emoglobina fid-demm fl-adulti bil-PNH li kienu ġew ittrattati b'eculizumab għal mill-inqas 3 xhur iżda li xorta kellhom anemija. Aspaveli huwa wkoll aktar effettiv mill-kura ta' sostenn fl-istabbilizzazzjoni tal-livelli tal-emoglobina u fil-kontroll tat-tkissir taċ-ċelloli ħomor tad-demm f'adulti bil-PNH li ma kinux ġew ittrattati b'inibituri tal-komplement għal mill-inqas 3 xhur. Dan inaqqas ukoll il-ħtieġa għal trasfużjonijiet tad-demm fl-adulti bil-PNH. Madankollu, l-inċertezzjoni relatata mat-tfassil tal-istudju f'pazjenti li ma kinux ġew ittrattati b'inibituri tal-komplement għal mill-inqas 3 xhur illimitaw l-evalwazzjoni tal-benefiċċji u tar-riskji ta' Aspaveli f'dawn il-pazjenti.

Aspaveli huwa effettiv ukoll fit-tnaqqis tal-proteinurja fl-adulti u fl-adolesxenti mill-età ta' 12-il sena b'C3G jew b'IC-MPGN primarja, u dan jissuggerixxi tnaqqis fil-ħsara fil-kliwi. Għalkemm ma ġiex ippruvat bis-sħiħ li tnaqqis fil-proteinurja jibassar il-funzjoni tal-kliwi fit-tul, id-*data* disponibbli tqieset

biżżejjed biex turi l-effettività ta' Aspaveli fl-adulti u fl-adolesxenti mill-età ta' 12-il sena b'C3G jew b'IC-MPGN primarja.

F'termini ta' sigurtà, għalkemm id-*data* dwar is-sigurtà hija limitata minħabba l-għadd żgħir ta' pazjenti inklużi fl-istudji ewlenin, l-effetti sekondarji ta' Aspaveli huma kkunsidrati maniġġabbli, meta jitqiesu l-miżuri fis-sehħ biex jitnaqqsu r-riskji tiegħu.

Għaldaqstant, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini ddecidiet li l-benefiċċji ta' Aspaveli huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qeghdin jittiehdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Aspaveli?

Il-kumpanija li tqiegħed Aspaveli fis-suq se tiżgura li d-distribuzzjoni tal-medicina ssehh biss wara li jiġi vverifikat li l-pazjent ikun tlaqqam kif xieraq. Il-kumpanija se tipprovdi wkoll informazzjoni lil dawk li jippreskrivu l-medicina u lill-pazjenti dwar is-sigurtà tal-medicina, u se tibgħat tfakkiriet lil dawk li jippreskrivu l-medicina u lill-ispiżjara biex jiċcekjkaw jekk hijiex meħtieġa tilqima oħra għall-pazjenti li jkunu qed jieħdu Aspaveli. Il-pazjenti se jingħataw ukoll kard speċjali li tispjega s-sintomi ta' ċerti tipi ta' infezzjoni, li twissi lill-pazjenti biex ifittxu kura medika minnufih jekk jesperjenzawhom.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Aspaveli.

Bħal fil-każ tal-medicini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Aspaveli hija mmonitorjata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati b'Aspaveli huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Aspaveli

Aspaveli ngħata awtorizzazzjoni għat-tqeghid fis-suq valida fl-UE kollha fit-13 ta' Diċembru 2021.

Aktar informazzjoni dwar Aspaveli tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'01-2026.