



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (*pegcetakoplan*)

Přehled pro přípravek Aspaveli a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Aspaveli a k čemu se používá?

Přípravek Aspaveli je léčivý přípravek používaný u dospělých k léčbě paroxysmální noční hemoglobinurie, což je získané onemocnění, při kterém dochází k nadměrnému rozpadu červených krvinek (hemolýze) a následnému uvolnění velkého množství hemoglobinu (bílkoviny nacházející se v červených krvinkách, která přenáší kyslík v těle) do moči. Přípravek Aspaveli se používá u pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií, kteří mají anémii (nízkou hladinu červených krvinek) v důsledku hemolýzy.

Paroxysmální noční hemoglobinurie je vzácné onemocnění a přípravek Aspaveli byl označen dne 22. května 2017 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Přípravek Aspaveli obsahuje léčivou látku pegcetakoplan.

Jak se přípravek Aspaveli používá?

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčba by měla být zahájena pod dohledem zdravotnického pracovníka, který má zkušenosti s léčbou onemocnění souvisejících s krví.

Přípravek Aspaveli se podává ve formě infuze (kapání) pod kůži do břicha, stehna, oblasti kyčlí nebo horní části paží. Podává se dvakrát týdně (1. a 4. den). Pokud to lékař považuje za vhodné, mohou si pacienti infuzi po zaškolení podávat sami. Pokud neexistuje klinický důvod pro ukončení léčby, pokračuje se v léčbě přípravkem Aspaveli po celý život.

Více informací o používání přípravku Aspaveli naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Aspaveli působí?

Léčivá látka v přípravku Aspaveli, pegcetakoplan, se skládá ze dvou syntetických peptidů (krátkých řetězců aminokyselin), které jsou vzájemně propojeny. Váže se na C3 bílkovinu komplementu, která je součástí imunitního systému (přirozeného obranného systému těla) nazývaného „komplementový systém“.

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



U pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií jsou bílkoviny komplementu aktivovány v nadměrné míře a poškozují vlastní buňky pacienta. Blokováním C3 bílkoviny komplementu zabraňuje přípravek Aspaveli bílkovinám komplementu v poškozování buněk, čímž pomáhá zmírňovat příznaky paroxysmální noční hemoglobinurie.

Jaké přínosy přípravku Aspaveli byly prokázány v průběhu studií?

Ve studii zahrnující pacienty s paroxysmální noční hemoglobinurií, kteří byli po minimálně 3měsíční léčbě ekulizumabem stále anemičtí, bylo prokázáno, že přípravek Aspaveli je účinný v rámci prevence rozpadu červených krvinek a zvyšování hladiny hemoglobinu v krvi.

Studie zahrnovala 80 pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií, kteří byli v dané době léčeni ekulizumabem (léčivým přípravkem známým jako inhibitor komplementu), ale navzdory léčbě byli stále anemičtí (vykazovali hladinu hemoglobinu <10,5 g/dl). Pacienti byli buď převedeni na přípravek Aspaveli, nebo pokračovali v léčbě ekulizumabem. Po 16 týdnech se hladina hemoglobinu u pacientů, kterým byl podáván přípravek Aspaveli, zvýšila v průměru o 2,37 g/dl, zatímco u pacientů, kteří byli dále léčeni ekulizumabem, se snížila v průměru o 1,47 g/dl. Během tohoto období vyžadovalo transfuzi krve 6 ze 41 pacientů, kterým byl podáván přípravek Aspaveli, v porovnání s 33 ze 39 pacientů léčených ekulizumabem.

Druhá studie hodnotila použití přípravku Aspaveli u 53 pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií, kteří během 3 měsíců předcházejících studii nedostávali inhibitor komplementu. Přípravek Aspaveli byl při kontrole rozpadu červených krvinek a stabilizaci hladiny hemoglobinu účinnější než podpůrná léčba (léčba k prevenci nebo zmírnění příznaků onemocnění). Po 26 týdnech léčby se hladina hemoglobinu stabilizovala (což znamená, že neklesla o více než 1 g/dl, aniž by pacient podstoupil transfuzi krve) u přibližně 86 % (30 z 35) pacientů léčených přípravkem Aspaveli v porovnání s žádným (0 z 18) pacientem léčeným podpůrnou léčbou.

Studie rovněž hodnotila vliv léčby na hladinu laktátdehydrogenázy (LDH, markeru poškození tkáně, který se zvyšuje při rozpadu červených krvinek) v krvi. Po 26 týdnech došlo u pacientů léčených přípravkem Aspaveli k průměrnému poklesu hladiny LDH o 1 870 jednotek/l v porovnání s průměrným poklesem o 400 jednotek/l u pacientů léčených podpůrnou léčbou. Během tohoto období nevyžadovalo transfuzi přibližně 91 % (32 z 35) pacientů, kterým byl podán přípravek Aspaveli, v porovnání s 6 % (1 z 18) pacientů podstupujících podpůrnou léčbu.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Aspaveli?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Aspaveli (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou reakce v místě injekce (zarudnutí kůže, svědění, otok, modřiny a bolest v místě vpichu), infekce horních cest dýchacích (nosu a krku), bolest břicha, průjem, hemolýza, bolest hlavy, únava, horečka, kašel, infekce močových cest, bolest končetin (ruky nebo nohy), závratě, bolesti kloubů a zad a komplikace při očkování. Nejzávažnějšími nežádoucími účinky přípravku jsou hemolýza (která může postihnout více než 1 osobu z 10) a sepse (otrava krve, která může postihnout až 1 osobu z 10).

Na základě mechanismu účinku může přípravek Aspaveli zvyšovat riziko infekcí. Přípravek Aspaveli se nesmí používat u pacientů s probíhající infekcí způsobenou určitými bakteriemi známými jako opouzdřené bakterie, včetně bakterií *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* a *Haemophilus influenzae*. Nesmí se dále používat u pacientů, kteří nejsou v současné době naočkovaní proti těmto bakteriím, pokud neužívají vhodná antibiotika ke snížení rizika infekce po dobu dvou týdnů po očkování.

Na základě čeho byl přípravek Aspaveli registrován v EU?

Přípravek Aspaveli je účinný v rámci zvyšování hladiny hemoglobinu v krvi u pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií, kteří byli po minimálně 3měsíční léčbě ekulizumabem stále anemičtí. Přípravek Aspaveli byl také účinnější než podpůrná léčba paroxysmální noční hemoglobinurie při stabilizaci hladiny hemoglobinu a kontrole rozpadu červených krvinek u pacientů, kteří nebyli minimálně 3 měsíce léčeni inhibitory komplementu. U pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií přípravek také snížil potřebu transfuzí krve. Nejistoty související s návrhem studie u pacientů, kteří nebyli minimálně 3 měsíce léčeni inhibitory komplementu, však omezily hodnocení přínosů a rizik přípravku Aspaveli u těchto pacientů.

Pokud jde o bezpečnost, ačkoli jsou údaje o bezpečnosti vzhledem k malému počtu pacientů zahrnutých do hlavních studií omezené, jsou nežádoucí účinky přípravku Aspaveli při zohlednění opatření zavedených k minimalizaci jeho rizik považovány za zvladatelné.

Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Aspaveli převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Aspaveli?

Společnost, která přípravek Aspaveli dodává na trh, zajistí, aby přípravek byl vydáván pouze poté, co se ověří, že pacient je řádně očkován. Společnost také pacientům a lékařům předepisujícím tento přípravek poskytne informace o jeho bezpečnosti a zašle předepisujícím lékařům a lékárníkům připomínku, že mají u pacientů užívajících přípravek Aspaveli zkontrolovat, zda je není třeba (pře)očkovat. Pacienti také obdrží speciální kartu s vysvětlením příznaků určitých typů infekcí a s pokynem, aby okamžitě vyhledali lékaře, pokud se u nich tyto příznaky objeví.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Aspaveli, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Aspaveli průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Aspaveli jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Aspaveli

Přípravku Aspaveli bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 13. prosince 2021.

Další informace o přípravku Aspaveli jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 02-2024.