



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (*pegcetacoplan*)

En oversigt over Aspaveli, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Aspaveli, og hvad anvendes det til?

Aspaveli er et lægemiddel til behandling af voksne og børn med paroksyttisk nokturn hæmoglobinuri (PNH), en erhvervet sygdom, hvor der sker en øget nedbrydning af de røde blodlegemer (hæmolyse), hvilket medfører, at store mængder hæmoglobin (proteinet i de røde blodlegemer, som transporterer ilt rundt i kroppen) bliver udskilt i urinen. Aspaveli anvendes til patienter med PNH, som har anæmi (lavt antal røde blodlegemer) på grund af hæmolyse.

Paroksyttisk nokturn hæmoglobinuri er sjælden, og Aspaveli blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 22. maj 2017. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme findes her: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Aspaveli indeholder det aktive stof pegcetacoplan.

Hvordan anvendes Aspaveli?

Lægemidlet fås kun på recept. Behandlingen bør indledes under overvågning af en sundhedsperson med erfaring i behandling af blodrelaterede sygdomme.

Aspaveli gives som infusion (drop) under huden i maven, låret, hoften eller overarmen. Det gives to gange om ugen (på dag 1 og 4). Patienterne kan give sig selv dropbehandlingen, hvis deres læge finder det hensigtsmæssigt, og de er blevet instrueret i det. Medmindre der er en klinisk grund til at standse behandlingen, fortsættes behandlingen med Aspaveli hele livet.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Aspaveli, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Aspaveli?

Det aktive stof i Aspaveli, pegcetacoplan, består af to syntetiske peptider (korte kæder af aminosyrer), der er kædet sammen. Det binder sig til C3-komplementproteinet, som er en del af immunforsvaret, der kaldes "komplementsystemet".

Hos patienter med PNH er komplementproteinerne overaktive og skader patienternes egne celler. Ved at blokere C3-komplementproteinet forhindrer Aspaveli komplementproteiner i at beskadige celler og medvirker derved til at lindre symptomerne på PNH.

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



Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Aspaveli?

Aspaveli viste sig effektivt til at forebygge nedbrydning af røde blodlegemer og øge hæmoglobinniveauet i blodet i et studie, der omfattede patienter med PNH, som var blevet behandlet med eculizumab i mindst tre måneder, men som stadig havde anæmi.

Studiet omfattede 80 patienter med PNH, som var i behandling med eculizumab, en type lægemiddel kaldet en komplementhæmmer, men som fortsat havde anæmi (hæmoglobinniveau < 10,5 g/dl) på trods af denne behandling. Patienterne skiftede enten til Aspaveli eller fortsatte deres behandling med eculizumab. Efter 16 uger steg hæmoglobinniveauet hos de patienter, der fik Aspaveli, gennemsnitligt med 2,37 g/dl, mens det faldt med 1,47 g/dl i gennemsnit hos de patienter, der stadig blev behandlet med eculizumab. I denne periode havde 6 ud af 41 patienter, der fik Aspaveli, brug for en blodtransfusion, sammenlignet med 33 ud af 39, der blev behandlet med eculizumab.

I et andet studie vurderedes anvendelsen af Aspaveli hos 53 patienter med PNH, som ikke havde fået en komplementhæmmer i de 3 måneder, der gik forud for studiet. Aspaveli var mere effektivt end understøttende behandling (behandling til at forebygge eller lindre symptomerne på sygdommen) til at kontrollere nedbrydningen af røde blodlegemer og stabilisere hæmoglobinniveauet. Efter 26 ugers behandling var hæmoglobinniveauet stabiliseret (dvs. det ikke faldt med mere end 1 g/dl, uden at patienten fik blodtransfusion) hos ca. 86 % af de patienter, der blev behandlet med Aspaveli (30 ud af 35), sammenlignet med ingen af dem, der fik understøttende behandling (0 ud af 18).

Studiet vurderede også behandlingens virkning på niveauet af laktatdehydrogenase i blodet (LDH – en markør for vævsskade, der øges, når de røde blodlegemer nedbrydes). Efter 26 uger oplevede de patienter, der blev behandlet med Aspaveli, et gennemsnitligt fald på 1 870 enheder/l i LDH-niveauet sammenlignet med et gennemsnitligt fald på 400 enheder/l hos dem, der fik understøttende behandling. I denne periode havde ca. 91 % af de patienter, der fik Aspaveli (32 ud af 35), ikke brug for en transfusion sammenlignet med 6 % (1 ud af 18) af de patienter, der fik understøttende behandling.

Hvilke risici er der forbundet med Aspaveli?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Aspaveli (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) omfatter reaktioner på indstiksstedet (rødme, kløe, hævelse, blå mærker og smerter på indstiksstedet), infektion i de øvre luftveje (næse og hals), mavesmerter, diarré, hæmolyse, hovedpine, træthed, feber, hoste, urinvejsinfektion, smerter i arme eller ben, svimmelhed, led- og rygsmerter og komplikationer ved vaccination. De alvorligste bivirkninger omfatter hæmolyse (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) og blodforgiftning (sepsis) (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer).

På grund sin virkningsmekanisme kan Aspaveli øge risikoen for infektioner. Aspaveli må ikke anvendes til patienter med igangværende infektion forårsaget af visse bakterier kaldet indkapslede bakterier, herunder *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* og *Haemophilus influenzae*. Det må heller ikke anvendes til patienter, der ikke på nuværende tidspunkt er vaccineret mod disse bakterier, medmindre de tager passende antibiotika i to uger efter vaccinationen for at mindske risikoen for infektion.

Hvorfor er Aspaveli godkendt i EU?

Aspaveli var effektivt til at øge hæmoglobinniveauet i blodet hos patienter med PNH, som var blevet behandlet med eculizumab i mindst 3 måneder, men som stadig havde anæmi. Aspaveli var også mere

effektivt end understøttende behandling af PNH til at stabilisere hæmoglobinniveauet og kontrollere nedbrydningen af røde blodlegemer hos patienter, der ikke var blevet behandlet med komplementhæmmere i mindst 3 måneder. Det reducerede også behovet for blodtransfusion hos patienter med PNH. Usikkerheder i forbindelse med studiets udformning hos patienter, der ikke var blevet behandlet med komplementhæmmere i mindst 3 måneder, begrænsede imidlertid vurderingen af fordelene og risiciene ved Aspaveli hos disse patienter.

Hvad sikkerheden angår, anses bivirkningerne ved Aspaveli for at være håndterbare i betragtning af de foranstaltninger, der træffes for at minimere risikoen, selv om sikkerhedsdataene er begrænsede på grund af det lave antal patienter i hovedstudierne.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Aspaveli opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Aspaveli anvendes sikkert og effektivt?

Den virksomhed, der markedsfører Aspaveli, vil sørge for, at lægemidlet først udleveres, når det er fastslået, at patienten er blevet korrekt vaccineret. Virksomheden vil også forsyne de ordinerende læger og patienterne med oplysninger om lægemidlets sikkerhed og sende påmindelser til de ordinerende læger og apotekerne om at kontrollere, om patienter, der tager Aspaveli, har behov for yderligere vaccination. Patienterne vil også få udleveret et særligt kort, der beskriver symptomerne ved visse typer infektioner og instruerer patienterne i straks at søge lægehjælp, hvis de oplever disse symptomer.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Aspaveli anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Aspaveli løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Aspaveli vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Aspaveli

Aspaveli fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 13. december 2021.

Yderligere information om Aspaveli findes på agenturets websted:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli.

Denne oversigt blev sidst ajourført i 02-2024.