



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (*pegcetacoplan*)

Aperçu d'Aspaveli et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce qu'Aspaveli et dans quel cas est-il utilisé?

Aspaveli est un médicament utilisé chez l'adulte dans le traitement de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN), une maladie acquise qui se caractérise par une dégradation excessive des globules rouges (hémolyse), entraînant la libération, dans l'urine, de grandes quantités d'hémoglobine (la protéine présente dans les globules rouges qui assure le transport de l'oxygène dans le corps). Aspaveli est utilisé chez les patients atteints d'HPN présentant une anémie (faibles taux de globules rouges) due à l'hémolyse.

L'hémoglobinurie paroxystique nocturne est rare et Aspaveli a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 22 mai 2017. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le site web de l'EMA: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Aspaveli contient la substance active pegcetacoplan.

Comment Aspaveli est-il utilisé?

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement doit être instauré sous la surveillance d'un professionnel de santé expérimenté dans la prise en charge des troubles sanguins.

Aspaveli est administré par perfusion (goutte-à-goutte) sous la peau du ventre, des cuisses, des hanches ou de la partie supérieure des bras. Il est administré deux fois par semaine (les jours 1 et 4). Les patients peuvent s'administrer eux-mêmes le goutte-à-goutte si leur médecin le juge approprié et s'ils ont été formés à cette fin. À moins qu'il n'existe un motif clinique d'interruption du traitement, Aspaveli se prend à vie.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Aspaveli, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Comment Aspaveli agit-il?

La substance active d'Aspaveli, le pegcetacoplan, est composée de deux peptides synthétiques (courtes chaînes d'acides aminés) reliés entre eux. Le pegcetacoplan se fixe sur la protéine du complément C3,

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



qui est un composant du système immunitaire (les défenses naturelles du corps) appelé «système du complément».

Chez les patients atteints d'HPN, les protéines du complément sont hyperactives et endommagent les propres cellules des patients. En bloquant les protéines du complément C3, Aspaveli empêche celles-ci d'endommager les cellules et contribue à soulager les symptômes de l'HPN.

Quels sont les bénéfices d'Aspaveli démontrés au cours des études?

Aspaveli s'est avéré efficace pour prévenir la dégradation des globules rouges et accroître les taux d'hémoglobine dans le sang lors d'une étude portant sur des patients atteints d'HPN qui avaient été traités par éculizumab pendant au moins trois mois, mais étaient toujours anémiques.

L'étude a été menée chez 80 patients atteints d'HPN et sous éculizumab, un médicament connu pour être un inhibiteur du complément, mais qui étaient toujours anémiques (taux d'hémoglobine < 10,5 g/dL) malgré ce traitement. Les patients sont passés à Aspaveli ou ont poursuivi leur traitement par éculizumab. Après 16 semaines, les taux d'hémoglobine des patients sous Aspaveli avaient augmenté de 2,37 g/dL en moyenne, tandis qu'ils avaient diminué en moyenne de 1,47 g/dL chez les patients qui étaient encore sous éculizumab. Au cours de cette période, 6 des 41 patients sous Aspaveli ont eu besoin d'une transfusion sanguine, contre 33 des 39 patients sous éculizumab.

Une deuxième étude a évalué l'utilisation d'Aspaveli chez 53 patients atteints d'HPN, qui n'avaient pas reçu d'inhibiteur du complément au cours des trois mois précédant l'étude. Aspaveli s'est avéré plus efficace que les soins de soutien (traitements destinés à prévenir ou à soulager les symptômes de la maladie) pour lutter contre la destruction des globules rouges et stabiliser les taux d'hémoglobine. Après 26 semaines de traitement, les taux d'hémoglobine s'étaient stabilisés (c'est-à-dire qu'ils n'avaient pas diminué de plus de 1 g/dL et que les patients n'avaient pas subi de transfusion sanguine) chez près de 86 % des patients sous Aspaveli (30 sur 35), alors que ce ne fut le cas pour aucun des patients bénéficiant de soins de soutien (0 sur 18).

L'étude a également évalué l'effet du traitement sur les taux sanguins de lactate déshydrogénase (LDH, un marqueur de lésions tissulaires qui augmente lorsque les globules rouges se dégradent). Après 26 semaines, les patients sous Aspaveli présentaient une diminution moyenne de 1 870 unités/L du taux de LDH, contre une diminution moyenne de 400 unités/L chez les patients bénéficiant de soins de soutien. Au cours de cette période, près de 91 % des patients sous Aspaveli (32 sur 35) n'ont pas eu besoin de transfusion, contre 6 % des patients bénéficiant de soins de soutien (1 sur 18).

Quels sont les risques associés à l'utilisation d'Aspaveli?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Aspaveli (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont notamment les suivants: réactions au point d'injection (rougeurs cutanées, démangeaisons, gonflements, ecchymoses et douleurs au point d'injection), infections des voies respiratoires supérieures (nez et gorge), douleurs abdominales (maux de ventre), diarrhée, hémolyse, maux de tête, fatigue, fièvre, toux, infections des voies urinaires, douleurs aux extrémités (bras ou jambes), vertiges, douleurs articulaires et dorsales, et complications liées à la vaccination. Parmi les effets indésirables les plus graves figurent l'hémolyse (qui peut toucher plus d'une personne sur 10) et la septicémie (empoisonnement du sang, qui peut toucher jusqu'à une personne sur 10).

Le mécanisme d'action d'Aspaveli est susceptible d'augmenter le risque d'infections. Aspaveli ne doit pas être utilisé chez les patients présentant une infection en cours provoquée par certaines bactéries connues sous le nom de bactéries encapsulées, notamment *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus*

pneumoniae et *Haemophilus influenzae*. Il ne doit pas non plus être utilisé chez les patients actuellement non vaccinés contre ces bactéries, à moins qu'ils ne prennent les antibiotiques adéquats pour réduire le risque d'infection pendant les deux semaines suivant la vaccination.

Pourquoi Aspaveli est-il autorisé dans l'UE?

Aspaveli est efficace pour accroître les taux sanguins d'hémoglobine chez les patients atteints d'HPN traités par éculizumab pendant au moins trois mois mais qui sont toujours anémiques. Aspaveli s'est également avéré plus efficace que les soins de soutien administrés en cas d'HPN pour stabiliser les taux d'hémoglobine et lutter contre la dégradation des globules rouges chez les patients n'ayant pas reçu d'inhibiteurs du complément pendant au moins trois mois. Aspaveli a également réduit la nécessité de procéder à des transfusions sanguines chez les patients atteints d'HPN. Chez les patients n'ayant pas reçu d'inhibiteurs du complément pendant au moins trois mois, les incertitudes liées à la conception de l'étude ont toutefois limité l'évaluation bénéfice/risque d'Aspaveli.

En ce qui concerne la sécurité, bien que les données soient limitées en raison du faible nombre de patients ayant participé aux études principales, les effets indésirables d'Aspaveli sont considérés comme gérables compte tenu des mesures mises en place pour minimiser les risques.

Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices d'Aspaveli sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Aspaveli?

La société qui commercialise Aspaveli veillera à ce que le médicament ne soit administré aux patients qu'après vérification qu'ils ont été correctement vaccinés. La société fournira également aux prescripteurs et aux patients des informations concernant la sécurité du médicament et enverra des rappels aux prescripteurs et aux pharmaciens pour qu'ils vérifient si toute autre vaccination est nécessaire pour les patients sous Aspaveli. Les patients doivent également recevoir une carte spéciale leur expliquant les symptômes de certains types d'infections et leur indiquant de faire appel à un médecin immédiatement en cas d'apparition de ce type de symptômes.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Aspaveli ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation d'Aspaveli sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Aspaveli sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Aspaveli:

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Aspaveli le 13 décembre 2021.

De plus amples informations sur Aspaveli sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli.

Dernière mise à jour du présent aperçu: 02-2024.