



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aspaveli (*pegcetacoplán*)

Información general sobre Aspaveli y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Aspaveli y para qué se utiliza?

Aspaveli es un medicamento que se utiliza en adultos para tratar la hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN), una enfermedad adquirida en la que se produce una degradación excesiva de los glóbulos rojos (hemólisis), lo que da lugar a la liberación de grandes cantidades de hemoglobina (la proteína de los glóbulos rojos que transporta el oxígeno por todo el organismo) a la orina. Aspaveli se utiliza en pacientes con HPN que tienen anemia (niveles bajos de glóbulos rojos) debido a la hemólisis.

La hemoglobinuria paroxística nocturna es una enfermedad rara, y Aspaveli fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado para tratar enfermedades raras) el 22 de mayo de 2017. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Aspaveli contiene el principio activo pegcetacoplán.

¿Cómo se usa Aspaveli?

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica. El tratamiento debe iniciarse bajo la supervisión de un profesional sanitario con experiencia en el tratamiento de trastornos relacionados con la sangre.

Aspaveli se administra mediante perfusión (goteo) bajo la piel del abdomen, los muslos, las caderas o la parte superior de los brazos. Se administra dos veces a la semana (los días 1 y 4). Los pacientes pueden administrarse ellos mismos el gotero si su médico lo considera apropiado y se les ha enseñado a hacerlo. A menos que exista un motivo clínico para interrumpir el tratamiento, Aspaveli se mantendrá durante toda la vida.

Si desea más información sobre el uso de Aspaveli, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

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



¿Cómo actúa Aspaveli?

El principio activo de Aspaveli, el pegcetacoplán, está compuesto por dos péptidos sintéticos (cadenas cortas de aminoácidos) unidos entre sí. Se une a la proteína de complemento C3, que forma parte del sistema inmunitario (las defensas naturales del organismo) denominado «sistema complementario».

En pacientes con HPN, las proteínas de complemento son excesivamente activas y dañan las células propias de los pacientes. Al bloquear la proteína de complemento C3, Aspaveli impide que las proteínas complementarias dañen las células, contribuyendo así a aliviar los síntomas de PNH.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Aspaveli en los estudios realizados?

Aspaveli demostró ser eficaz para prevenir la descomposición de los glóbulos rojos y aumentar los niveles de hemoglobina en sangre en un estudio en el que participaron pacientes con HPN que habían sido tratados con eculizumab durante al menos 3 meses pero que seguían siendo anémicos.

El estudio se realizó en 80 pacientes con HPN que estaban siendo tratados actualmente con eculizumab, un medicamento conocido como inhibidor del complemento, pero que seguían siendo anémicos (nivel de hemoglobina < 10,5 g/dl) a pesar de este tratamiento. Los pacientes cambiaron a Aspaveli o continuaron su tratamiento con eculizumab. Al cabo de 16 semanas, los niveles de hemoglobina en los pacientes que recibieron Aspaveli aumentaron por término medio en 2,37 g/dl, mientras que disminuyeron por término medio en 1,47 g/dl en los pacientes que seguían siendo tratados con eculizumab. Durante este período, 6 de los 41 pacientes a los que se administró Aspaveli necesitaron una transfusión de sangre, en comparación con 33 de los 39 tratados con eculizumab.

En un segundo estudio se evaluó el uso de Aspaveli en 53 pacientes con HPN que no habían recibido un inhibidor del complemento en los 3 meses previos al estudio. Aspaveli fue más eficaz que el tratamiento de apoyo (tratamiento para prevenir o aliviar los síntomas de la enfermedad) a la hora de controlar la descomposición de los glóbulos rojos y estabilizar los niveles de hemoglobina. Al cabo de 26 semanas de tratamiento, los niveles de hemoglobina se habían estabilizado (lo que significa que no disminuyeron en más de 1 g/dl sin que el paciente haya recibido una transfusión de sangre) en aproximadamente el 86 % de los pacientes tratados con Aspaveli (30 de 35), en comparación con ninguno de los tratados con cuidados paliativos (0 de 18).

En el estudio también se evaluó el efecto del tratamiento sobre los niveles sanguíneos de lactato deshidrogenasa (LDH, un marcador del daño tisular que aumenta cuando los glóbulos rojos se descomponen). Al cabo de 26 semanas, los pacientes tratados con Aspaveli presentaron una disminución media de 1 870 unidades/L en sus niveles de LDH, en comparación con una disminución media de 400 unidades/L en los pacientes tratados con cuidados paliativos. Durante este periodo, alrededor del 91 % de los pacientes a los que se administró Aspaveli (32 de 35) no necesitaron transfusión, frente al 6 % de los que recibieron cuidados paliativos (1 de 18).

¿Cuáles son los riesgos asociados a Aspaveli?

La lista completa de efectos adversos y restricciones se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Aspaveli (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son reacciones en el lugar de la inyección (enrojecimiento de la piel, picor, hinchazón, hematomas y dolor en ese lugar), infección de las vías respiratorias superiores (nariz y garganta), dolor abdominal (vientre), diarrea, hemólisis, dolor de cabeza, cansancio, fiebre, tos, infección de las vías urinarias, dolor en las extremidades (brazos o piernas), mareo, dolor de articulaciones y espalda y complicaciones con la vacunación. Los efectos adversos más graves incluyen hemólisis (puede afectar

a más de 1 de cada 10 personas) y sepsis (intoxicación sanguínea; que puede afectar hasta a 1 de cada 10 personas).

Basándose en su mecanismo de acción, Aspaveli puede aumentar el riesgo de infecciones. Aspaveli no debe administrarse a pacientes con una infección en curso causada por determinadas bacterias conocidas como bacterias encapsuladas, como *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* o *Haemophilus influenzae*. Tampoco debe utilizarse en pacientes que no estén vacunados actualmente contra estas bacterias a menos que tomen los antibióticos adecuados para reducir el riesgo de infección durante dos semanas después de la vacunación.

¿Por qué se ha autorizado Aspaveli en la UE?

Aspaveli es eficaz para aumentar los niveles de hemoglobina en la sangre de los pacientes con HPN que habían sido tratados con eculizumab durante al menos 3 meses pero que seguían siendo anémicos. Aspaveli fue también más eficaz que el tratamiento de apoyo a la HPN para estabilizar los niveles de hemoglobina y controlar la degradación de los glóbulos rojos en pacientes que no habían sido tratados con inhibidores del complemento durante al menos 3 meses. También redujo la necesidad de transfusiones sanguíneas en los pacientes con HPN. Sin embargo, las incertidumbres relacionadas con el diseño del estudio en pacientes que no habían sido tratados con inhibidores del complemento durante al menos 3 meses limitaron la evaluación de los beneficios y los riesgos de Aspaveli en estos pacientes.

En términos de seguridad, aunque los datos sobre seguridad son limitados debido al pequeño número de pacientes incluidos en los estudios principales, los efectos adversos de Aspaveli se consideran controlables, teniendo en cuenta las medidas existentes para minimizar su riesgo.

Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Aspaveli eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Aspaveli?

La compañía que comercializa Aspaveli garantizará que el medicamento solo se distribuya tras haber verificado que el paciente ya esté vacunado adecuadamente. La empresa también facilitará a los médicos y a los pacientes información sobre la seguridad del medicamento y les enviará recordatorios para comprobar si es necesaria cualquier vacunación posterior de los pacientes tratados con Aspaveli. Los pacientes también recibirán una tarjeta especial en la que se expliquen los síntomas de algunos tipos de infecciones, y se les indique la necesidad de solicitar atención médica inmediata si se presentan dichos síntomas.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Aspaveli se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Aspaveli se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Aspaveli se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Aspaveli

Aspaveli recibió una autorización de comercialización válida en toda la UE el 13 de diciembre de 2021.

Puede encontrar más información sobre Aspaveli en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 02-2024.