



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/244353/2020
EMA/H/C/004426

Cablivi (*caplacizumab*)

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

Hvad er Cablivi, og hvad anvendes det til?

Cablivi er et lægemiddel, der anvendes til voksne og børn fra 12 årsalderen, som vejer mindst 40 kg, og som har en episode med erhvervet trombotisk trombocytopenisk purpura (aTTP), som er en blodstørkningslidelse. Under en episode af aTTP dannes der blodpropper i små blodkar, og patienten har et lavt blodpladetal (en bestanddel i blodet, der hjælper det med at størkne).

Cablivi anvendes sammen med plasmaudskiftning (en procedure, der fjerner visse antistoffer fra blodet) og behandlinger, der reducerer aktiviteten af kroppens immunforsvar.

Cablivi indeholder det aktive stof caplacizumab.

aTTP er en sjælden sygdom, og Cablivi blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 30. april 2009. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her:

[ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)

Hvordan anvendes Cablivi?

Cablivi fås kun på recept. Behandlingen bør iværksættes og overvåges af læger med erfaring i behandling af patienter, der har blodstørkningslidelser, som påvirker de små blodkar.

Cablivi påbegyndes med en dosis på 10 mg givet ved injektion i en vene før plasmaudskiftning. Behandlingen fortsættes med en daglig injektion af 10 mg under huden på maven efter daglig plasmaudskiftning og i 30 dage efter ophør af daglig plasmaudskiftning. Behandlingen med Cablivi kan fortsætte i længere tid, hvis det er nødvendigt. Patienterne får også behandling for at mindske immunsystemets aktivitet.

Patienterne eller deres omsorgspersoner kan selv indgive Cablivi, når de er blevet instrueret i det.

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

Hvordan virker Cablivi?

Hos patienter med aTTP øges indholdet af et stof, som kaldes von Willebrand-faktor. Von Willebrand-faktor får blodpladerne til at klæbe sammen og danne blodpropper. Caplacizumab, det aktive stof i

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



Cablivi, er et nanostof (et lille antistof), der er designet til at binde til von Willebrand-faktor på en måde, så faktoren holder op med at virke på blodpladerne. Dette reducerer blodpladernes evne til at klæbe sammen og danne blodpropper i blodkarrene, og dermed stiger niveauet af blodplader i blodet, da de ikke længere bruges til at danne blodpropper.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Cablivi?

Der er gennemført to studier, der undersøgte virkningen af Cablivi hos patienter med aTTP, som havde behov for plasmaudskiftning til behandling af deres sygdom. Alle patienter fik standardbehandling.

I det første studie, som omfattede 75 patienter, vendte blodpladetallene tilbage til normalområdet efter gennemsnitligt 3 dage hos patienter, der fik Cablivi, sammenholdt med næsten 5 dage hos patienter, der fik placebo (en virkningsløs behandling).

Det andet studie, som omfattede 145 patienter, undersøgte, hvor lang tid det tog for blodpladetallet at vende tilbage til normalområdet, og hvor lang tid der gik, før der var opnået en tilstrækkelig forbedring af tilstanden til, at plasmaudskiftningen kunne ophøre inden for 5 dage. I studiet blev det påvist, at blodpladetallet sandsynligvis ville vende hurtigere tilbage til normalområdet hos patienter, der blev behandlet med Cablivi, end hos dem, der fik placebo.

Selvom hovedstudierne kun omfattede voksne, fremlagde virksomheden yderligere modelleringsdata, der viste, at lægemidlet vil være lige så effektivt hos børn fra 12-årsalderen, der vejer mindst 40 kg.

Hvilke risici er der forbundet med Cablivi?

De hyppigste bivirkninger ved Cablivi (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er næseblod, hovedpine og blødning fra tandkødet. Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Cablivi fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor er Cablivi godkendt i EU?

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Cablivi opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU. Agenturet fandt, at Cablivi i kombination med plasmaudskiftning og immunsupprimering hos patienter med aTTP kan reducere den tid, det tager for blodpladetallet at vende tilbage til normalområdet, hvilket er forbundet med kortere tids behandling med plasmaudskiftning og kortere ophold på en intensiv afdeling. Den vigtigste bivirkning ved behandlingen er blødning, men den anses som håndterbar. Virksomheden forventes at fremlægge resultaterne af et studie af sikkerheden og virkningen af Cablivi over længere tid.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Cablivi?

Den virksomhed, der markedsfører Cablivi, skal udarbejde informationsmaterialer, herunder et patientkort, vedrørende risikoen for alvorlig blødning og håndteringen af denne risiko.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Cablivi.

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

Andre oplysninger om Cablivi

Cablivi fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 31. august 2018.

Yderligere information vedrørende Cablivi findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Denne oversigt blev sidst ajourført i 05-2020.