



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/462233/2018
EMEA/H/C/004426

Cablivi (*Caplacizumab*)

Übersicht über Cablivi und Begründung für die Zulassung in der EU

Was ist Cablivi und wofür wird es angewendet?

Cablivi ist ein Arzneimittel für die Behandlung Erwachsener mit einer Episode erworbener thrombotischer thrombozytopenischer Purpura (aTTP), einer Blutgerinnungsstörung. Während einer aTTP-Episode bilden sich in kleinen Blutgefäßen Blutgerinnsel und der Patient weist eine geringe Thrombozytenanzahl (Komponenten, die die Blutgerinnung unterstützen) auf.

Cablivi wird zusammen mit einem Plasmaaustausch (bei dem bestimmte Antikörper aus dem Blut entfernt werden) und Behandlungen zur Reduzierung der Aktivität des Immunsystems (der Körperabwehr) angewendet.

Cablivi enthält den Wirkstoff Caplacizumab.

aTTP ist 'selten', und Cablivi wurde am 30. April 2009 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden sich hier: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation

Wie wird Cablivi angewendet?

Cablivi ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung sollte von Ärzten eingeleitet und überwacht werden, die Erfahrung mit der Versorgung von Patienten mit sich auf die kleinen Blutgefäße auswirkenden Blutgerinnungsstörungen haben.

Die Behandlung mit Cablivi wird vor dem Plasmaaustausch mit einer Dosis von 10 mg durch Injektion in eine Vene eingeleitet. Die Behandlung wird nach dem täglichen Plasmaaustausch mit einer täglichen Gabe von 10 mg durch Injektion in die Bauchhaut und auch nach Absetzung des Plasmaaustauschs für 30 Tage fortgeführt. Bei Bedarf kann die Behandlung mit Cablivi länger durchgeführt werden. Die Patienten erhalten ebenfalls eine Behandlung zur Reduzierung der Aktivität des Immunsystems.

Nach entsprechender Einweisung sind Patienten oder Betreuungspersonen in der Lage, Cablivi selbst zu injizieren.

Weitere Informationen zur Anwendung von Cablivi entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.



Wie wirkt Cablivi?

Bei Patienten mit aTTP sind die Werte für einen Stoff, der als von Willebrand-Faktor bezeichnet wird, erhöht. Der von Willebrand-Faktor veranlasst die Thrombozyten dazu, miteinander zu verkleben und Blutgerinnsel zu bilden. Caplacizumab, der Wirkstoff in Cablivi, ist ein Nanokörper (ein kleiner Antikörper), der dafür entwickelt wurde, auf eine Weise an den von Willebrand-Faktor zu binden, die diesen davon abhält, seine Wirkung auf die Thrombozyten zu entfalten. Dies reduziert die miteinander verklebenden Thrombozyten und die Bildung von Gerinnseln in den Blutgefäßen und hat einen Anstieg der Thrombozytenanzahl im Blut zur Folge, weil diese nicht mehr für die Gerinnselbildung verwendet werden.

Welchen Nutzen hat Cablivi in den Studien gezeigt?

Die Wirkung von Cablivi wurde in zwei Hauptstudien mit aTTP-Patienten, bei denen für die Behandlung ihrer Erkrankung ein Plasmaaustausch erforderlich war, untersucht. Alle Patienten erhielten eine Standardbehandlung.

In der ersten Studie mit 75 Patienten kehrte die Thrombozytenzahl bei mit Cablivi behandelten Patienten im Durchschnitt nach 3 Tagen in den Normalbereich zurück, im Vergleich mit nahezu 5 Tagen bei den mit Placebo (einer Scheinbehandlung) behandelten Patienten.

In der zweiten Studie mit 145 Patienten wurde untersucht, wie lange es dauerte, bis die Thrombozytenzahl wieder in den Normalbereich zurückgekehrt war und die Erkrankung sich ausreichend verbessert hatte, um eine Absetzung des täglichen Plasmaaustauschs innerhalb von 5 Tagen zu ermöglichen. Die Studie ergab, dass die Thrombozytenzahl bei mit Cablivi behandelten Patienten im Vergleich zu den mit Placebo behandelten Patienten wahrscheinlich schneller in den Normalbereich zurückkehrt.

Welche Risiken sind mit Cablivi verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Cablivi (die mehr als eine von zehn Personen betreffen können) sind Nasenbluten, Kopfschmerzen und Zahnfleischbluten. Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Cablivi berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Cablivi in der EU zugelassen?

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Cablivi gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann. Die Agentur gelangte zu der Ansicht, dass Cablivi bei aTTP-Patienten in Kombination mit einem Plasmaaustausch und Immunsuppression den Zeitraum reduzieren kann, der für die Rückkehr der Thrombozytenzahl in den Normalbereich erforderlich ist, was mit einer kürzeren Behandlungsdauer im Hinblick auf den Plasmaaustausch und einem kürzeren Aufenthalt in einer Intensivereinrichtung verbunden ist. Die wichtigste Nebenwirkung der Behandlung sind Blutungen, die jedoch als beherrschbar betrachtet werden. Es wird erwartet, dass das Unternehmen Studienergebnisse zu der Sicherheit und Wirkung von Cablivi über einen längeren Zeitraum bereitstellt.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Cablivi ergriffen?

Das Unternehmen, das Cablivi in Verkehr bringt, wird Materialien bezüglich des Risikos schwerer Blutungen und wie dieses Risiko bewältigt werden kann, einschließlich einer Informationskarte für Patienten bereitstellen.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Cablivi, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Cablivi kontinuierlich überwacht. Gemeldete Nebenwirkungen von Cablivi werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Cablivi

Weitere Informationen zu Cablivi finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.