



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/462233/2018
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 til behandling af voksne, der oplever en episode af erhvervet trombotisk trombocytopenisk purpura (aTTP; en blodstørkningsforstyrrelse). 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 (hvor visse antistoffer fjernes fra blodet) og behandlinger til at reducere 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 oplysninger om udpegelsen til lægemiddel til sjældne sygdomme findes her: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation

Hvordan anvendes Cablivi?

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

Cablivi påbegyndes med en dosis på 10 mg givet ved injektion i en blodåre 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 selv eller deres omsorgspersoner kan indgive Cablivi, når de er blevet behørigt oplært.

For mere information om brug af Cablivi, se indlægssedlen eller kontakt lægen eller apotekspersonalet.



Hvordan virker Cablivi?

Patienter med aTTP har et øget niveau af et stof, der hedder von Willebrand-faktor, og som får blodplader til at klæbe sammen og danne blodpropper. Caplacizumab, det aktive stof i 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 og danne blodpropper i blodkarrene, og som følge deraf stiger niveauet af blodplader i blodet, da de ikke længere danner 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 (ikke-aktivt stof).

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

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, som det tager for blodpladetallet at vende tilbage til normalområdet, hvilket er forbundet med kortere tids behandling med plasmaudskiftning og kortere tids ophold på en intensiv afdeling. Den vigtigste bivirkning ved behandlingen er blødning, men den er 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. Bivirkninger rapporteret for Cablivi vurderes omhyggeligt, og der tages de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Cablivi

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).