



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cablivi (*caplacizumab*)

Aperçu de Cablivi et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Cablivi et dans quel cas est-il utilisé?

Cablivi est un médicament utilisé pour le traitement des patients adultes présentant un épisode de purpura thrombotique thrombocytopénique acquis (PTTa), un trouble de la coagulation du sang. Pendant un épisode de PTTa, des caillots de sang se forment dans les petits vaisseaux sanguins et le patient présente une faible numération plaquettaire (composants qui contribuent à la coagulation du sang).

Cablivi est utilisé en association avec un traitement par échanges plasmatiques (dans lesquels certains anticorps sont retirés du sang) et des traitements visant à réduire l'activité du système immunitaire (les défenses de l'organisme).

Cablivi contient le principe actif caplacizumab.

Le PTTa est rare et Cablivi a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 30 avril 2009. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation

Comment Cablivi est-il utilisé?

Cablivi n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement doit être instauré et supervisé par des médecins expérimentés dans la prise en charge de patients qui présentent des troubles de la coagulation du sang touchant les petits vaisseaux sanguins.

La première dose de Cablivi est de 10 mg administrée par injection intraveineuse avant un échange plasmatique. Le traitement est suivi d'injections sous-cutanées quotidiennes de 10 mg dans le ventre à l'issue de chaque échange plasmatique quotidien et continue pendant 30 jours après l'arrêt des échanges plasmatiques quotidiens. Le traitement par Cablivi peut être prolongé si nécessaire. Les patients reçoivent également des traitements pour réduire l'activité du système immunitaire.

Les patients peuvent s'injecter eux-mêmes Cablivi ou leurs soignants peuvent s'en charger, après avoir reçu une formation appropriée.



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

Comment Cablivi agit-il?

Chez les patients atteints d'un PTTa, les taux d'une substance appelée facteur de von Willebrand sont plus élevés. Ce facteur agit sur les plaquettes qui s'agrègent et forment des caillots sanguins. Le caplacizumab, le principe actif de Cablivi, est un nanobody (un petit anticorps) qui a été conçu pour se fixer au facteur de von Willebrand de façon à l'empêcher d'agir sur les plaquettes. Ainsi, le nombre de plaquettes qui s'agrègent et forment des caillots dans les vaisseaux sanguins est réduit et, par conséquent, les taux de plaquettes dans le sang augmentent car elles arrêtent former des caillots.

Quels sont les bénéfices de Cablivi démontrés au cours des études?

Deux études principales ont examiné l'efficacité de Cablivi chez les patients atteints de PTTa qui avaient besoin d'un échange plasmatique pour traiter la maladie. Tous les patients recevaient un traitement standard.

Dans la première étude, portant sur 75 patients, le taux de plaquettes est revenu à la normale après trois jours en moyenne chez les patients traités par Cablivi, contre près de cinq jours chez ceux ayant reçu un placebo (un traitement fictif).

La deuxième étude, portant sur 145 patients, a calculé le temps nécessaire pour que le taux de plaquettes revienne à la normale et que la maladie s'améliore suffisamment pour permettre l'arrêt des échanges plasmatiques quotidiens dans les cinq jours. Selon l'étude, le taux de plaquettes était susceptible de revenir plus rapidement à la normale chez les patients traités par Cablivi par rapport à ceux ayant reçu un placebo.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Cablivi?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Cablivi (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont les suivants: saignements de nez, maux de tête et saignements gingivaux. Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Cablivi, voir la notice.

Pourquoi Cablivi est-il autorisé dans l'UE?

L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Cablivi sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE. L'Agence a estimé que, chez les patients atteints d'un PTTa, Cablivi associé aux échanges plasmatiques et à un traitement immunosuppresseur peut réduire le temps nécessaire pour que le taux de plaquettes revienne à la normale, qui est associé à une durée d'échanges plasmatiques plus courte et à un séjour moins long en unité de soins intensifs. L'effet indésirable le plus important observé avec ce traitement est le saignement mais il est considéré comme étant gérable. La société devrait fournir les résultats d'une étude sur la sécurité et l'efficacité de Cablivi sur une période plus longue.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Cablivi?

La société qui commercialise Cablivi fournira du matériel, notamment une carte d'alerte du patient, sur les risques de saignement grave et sur la façon dont les risques devraient être gérés.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Cablivi 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 de Cablivi sont surveillées en permanence. Les effets secondaires rapportés avec Cablivi sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Cablivi:

Des informations sur Cablivi sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).