



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cablivi (*kaplacizumab*)

A Cablivi nevű gyógyszer áttekintése és indoklás, hogy miért engedélyezték az EU-ban

Milyen típusú gyógyszer a Cablivi és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Cablivi-t olyan felnőttek kezelésére alkalmazzák, akiknél egy vérrögképződéssel járó betegség, a szerzett trombotikus trombocitopéniás purpura (aTTP) epizódja lép fel. Az aTTP epizódok során a kisebb véredényekben vérrögök képződnek, és a beteg vérlemezkesszáma (a véralvadásért felelős alkotóelemek) csökken.

A Cablivi-t plazmacserével (melynek során bizonyos antitesteket eltávolítanak a vérből), illetve az immunrendszer (a szervezet védelmi rendszere) aktivitását csökkentő kezelésekkel együtt alkalmazzák.

A Cablivi hatóanyaga a kaplacizumab.

Mivel az aTTP „ritkának” minősül, ezért a Cablivi-t 2009. április 30-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare%20disease%20designation)

Hogyan kell alkalmazni a Cablivi-t?

A Cablivi csak receptre kapható. A kezelést kizárólag a kisebb véredényeket érintő, vérrögképződéssel járó betegségek kezelésében tapasztalt orvos kezdheti meg és felügyelheti.

A Cablivi alkalmazását egy 10 mg-os dózissal kell kezdeni, melyet a plazmacsere előtt, egy vénába fecskendeznek be. A kezelést a napi plazmacsere után a has bőre alá fecskendezett 10 mg-os napi dózissal kell folytatni. A napi plazmacsere befejezése után a gyógyszerrel végzett kezelést 30 napig kell folytatni. Szükség esetén a Cablivi-vel végzett kezelés hosszabb ideig is folytatható. A betegek emellett az immunrendszer aktivitásának csökkentésére irányuló kezelést is kapnak.

A betegek vagy ápolók megfelelő betanítást követően akár maguk is beadhatják a Cablivi-t.



További információért a Cablivi alkalmazásáról olvassa el a betegtájékoztatót vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejt ki hatását a Cablivi?

Az aTTP-ben szenvedő betegek vérében megnő az úgynevezett von Willebrand-faktor szintje. A von Willebrand-faktor készíti a vérlemezkéket az összetapadásra és ezzel vérrögök képzésére. A kaplacizumab, a Cablivi hatóanyaga egy nanotest (kis méretű antitest), melyet úgy alakítottak ki, hogy a von Willebrand-faktorhoz kötődve megakadályozza, hogy az kölcsönhatásba lépjen a vérlemezkékkel. Ez csökkenti a vérlemezkék összetapadását, megakadályozva, hogy vérrögöket képezzenek a véredényekben. Ennek következtében megnő a vérben a vérlemezkeszint, mivel a vérlemezkék így már nem alkotnak vérrögöket.

Milyen előnyei voltak a Cablivi alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Cablivi hatásosságát az aTTP-ben szenvedő, plazmacserét igénylő betegek kezelésében két fő vizsgálatban tanulmányozták. Valamennyi beteg szabványos kezelést kapott.

Az első vizsgálatban, melyben 75 beteg vett részt, a vérlemezkeszám a Cablivi-vel kezelt betegek esetében átlagosan 3 napon belül visszatért a normál tartományba, míg ez az időtartam a placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) kezelt betegeknél közel 5 nap volt.

A második vizsgálatban, melyben 145 beteg vett részt, azt tanulmányozták, hogy mennyi időbe telik, amíg a vérlemezkeszám visszatér a normál tartományba, illetve amíg a beteg állapota megfelelő javulást mutat a plazmacserés kezelés 5 napon belüli leállításához. A vizsgálat eredményei szerint a vérlemezkeszám gyorsabban tért vissza a normál tartományba a Cablivi-vel kezelt betegek, mint a placebóval kezelt betegek esetében.

Milyen kockázatokkal jár a Cablivi alkalmazása?

A Cablivi leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) az orrvérzés, fejfájás és az ínyvérzés. A Cablivi alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Cablivi forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európa Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Cablivi alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható. Az Ügynökség figyelembe vette, hogy az aTTP-ben szenvedő betegek esetében a Cablivi plazmacserével és immunszuppresszióval egyidejű alkalmazása csökkentheti a vérlemezkeszám normál tartományba történő visszatéréséhez szükséges időt, egyúttal csökkentve a plazmacserés kezelés és az intenzív ápolóintézményben való tartózkodás szükséges idejét. A kezelés legjelentősebb mellékhatása a vérzés, melyet azonban kezelhető mértékűnek ítélték. A vállalatnak a jövőben a Cablivi biztonságosságára és hatásosságára vonatkozó hosszabb távú vizsgálat eredményeit is be kell nyújtania.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Cablivi biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Cablivi-t forgalmazó vállalat tájékoztató anyagokat, köztük a betegek számára figyelmeztető kártyát fog biztosítani a súlyos vérzés kockázatáról és a kockázat kezelésének módjáról.

A Cablivi biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Cablivi alkalmazása során jelentkező információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. A Cablivi alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Cablivi-vel kapcsolatos egyéb információ

További információ a Cablivi gyógyszerről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található:
[ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).