



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cablivi (*caplacizumab*)

Sintesi di Cablivi e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Cablivi e per cosa si usa?

Cablivi è un medicinale utilizzato per il trattamento negli adulti di un episodio di porpora trombotica trombocitopenica (PTT) acquisita, un disturbo della coagulazione del sangue. Durante un episodio di PTT acquisita, si formano coaguli di sangue nei vasi sanguigni di piccole dimensioni e il paziente ha una bassa conta di piastrine (cellule che aiutano la coagulazione del sangue).

Cablivi viene utilizzato insieme a plasmferesi (plasma exchange, PE, in cui alcuni anticorpi vengono rimossi dal sangue) e a trattamenti destinati a ridurre l'attività del sistema immunitario (le difese dell'organismo).

Cablivi contiene il principio attivo caplacizumab.

La PTT acquisita è "rara" e Cablivi è stato definito come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 30 aprile 2009. Maggiori informazioni sulla definizione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/Find_medicines/Human_medicines/Rare_disease_designation

Come si usa Cablivi?

Cablivi può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere avviato e controllato da medici esperti nella gestione di pazienti con disturbi della coagulazione che interessano i vasi sanguigni di piccole dimensioni.

Il trattamento con Cablivi viene iniziato con una dose di 10 mg somministrata mediante iniezione in vena prima della plasmferesi. Il trattamento viene proseguito con 10 mg al giorno somministrati mediante iniezione sottocutanea in addome dopo la plasmferesi giornaliera e si protrae per 30 giorni dopo l'interruzione della plasmferesi giornaliera. Se necessario, il trattamento con Cablivi può continuare più a lungo. I pazienti ricevono anche trattamenti per ridurre l'attività del sistema immunitario.

Dopo istruzioni opportune la somministrazione di Cablivi può essere effettuata dai pazienti stessi o da chi li assiste.



Per maggiori informazioni sull'uso di Cablivi, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Cablivi?

Nei pazienti con PTT acquisita, i livelli di una sostanza chiamata fattore di von Willebrand sono maggiori. Il fattore di von Willebrand agisce sulle piastrine per farle aderire e formare coaguli di sangue. Caplacizumab, il principio attivo di Cablivi, è un nano anticorpo (un piccolo anticorpo) che è stato progettato per legarsi al fattore di von Willebrand in modo da impedirne l'azione sulle piastrine. Ciò riduce l'adesione piastrinica e la formazione di coaguli nei vasi sanguigni e, di conseguenza, i livelli di piastrine nel sangue aumentano perché non sono più impegnate a formare coaguli.

Quali benefici di Cablivi sono stati evidenziati negli studi?

Due studi principali hanno esaminato l'efficacia di Cablivi in pazienti con PTT acquisita che necessitavano la plasmateresi per il trattamento della loro affezione. Tutti i pazienti hanno ricevuto il trattamento standard.

Nel primo studio, che ha coinvolto 75 pazienti, la conta piastrinica è tornata al normale intervallo dopo 3 giorni in media nei pazienti trattati con Cablivi, rispetto a quasi 5 giorni nei pazienti trattati con placebo (un trattamento fittizio).

Il secondo studio, che ha coinvolto 145 pazienti, ha misurato il tempo necessario alla normalizzazione della conta piastrinica e al miglioramento sufficiente della condizione per consentire l'interruzione della plasmateresi giornaliera entro 5 giorni. Lo studio ha rilevato che la conta piastrinica aveva maggiori probabilità di tornare al normale intervallo più rapidamente nei pazienti trattati con Cablivi rispetto a quelli a cui veniva somministrato placebo.

Quali sono i rischi associati a Cablivi?

Gli effetti indesiderati più comuni di Cablivi (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono epistassi, cefalea e sanguinamento gengivale. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati e delle limitazioni rilevati con Cablivi, vedere il foglio illustrativo.

Perché Cablivi è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Cablivi sono superiori ai rischi e perciò può essere autorizzato per l'uso nell'UE. L'Agenzia ha ritenuto che, nei pazienti con PTT acquisita, Cablivi, combinato con la plasmateresi e l'immunosoppressione, possa ridurre il tempo necessario alla normalizzazione della conta piastrinica, che è associata a una minore durata del trattamento di plasmateresi e a una permanenza più breve nelle strutture di terapia intensiva. L'effetto indesiderato più importante del trattamento è il sanguinamento, ma è considerato gestibile. La ditta dovrebbe fornire i risultati di uno studio sulla sicurezza e sull'efficacia di Cablivi in un periodo di tempo più lungo.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Cablivi?

La ditta che commercializza Cablivi fornirà materiali, tra cui una scheda di allerta per il paziente, sul rischio di sanguinamento grave e sulle modalità di gestione del rischio.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Cablivi sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Cablivi sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Cablivi sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Cablivi

Ulteriori informazioni su Cablivi sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).