



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Cablivi (*kaplacyzumab*)

Przegląd wiedzy na temat leku Cablivi i uzasadnienie udzielenia Pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

### Co to jest lek Cablivi i w jakim celu się go stosuje

Cablivi jest lekiem stosowanym w leczeniu osób dorosłych, u których wystąpiło zaburzenie krzepnięcia krwi o nazwie nabyta zakrzepowa plamica małopłytkowa (aTTP). Podczas epizodu aTTP w drobnych naczyniach krwionośnych tworzą się zakrzepy krwi, a ponadto u pacjenta stwierdza się obniżenie liczby płytek krwi (składników krwi uczestniczących w procesie krzepnięcia krwi).

Lek Cablivi stosuje się równocześnie z wymianą osocza krwi (zabiegiem polegającym na usunięciu z krwi pewnych przeciwciał) i leczeniem obniżającym aktywność układu odpornościowego (chroniącego organizm).

Lek Cablivi zawiera substancję czynną kaplacyzumab.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z aTTP choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 30 kwietnia 2009 r. lek Cablivi uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć tutaj:

[ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)

### Jak stosować lek Cablivi

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinno być wdrożone i prowadzone przez lekarzy mających doświadczenie w leczeniu pacjentów z zaburzeniami krzepliwości krwi w drobnych naczyniach krwionośnych.

Początkowo podaje się dawkę 10 mg, którą wstrzykuje się dożylnie przed zabiegiem wymiany osocza. Następnie podaje się codziennie 10 mg leku we wstrzyknięciu podskórnym w obrębie brzucha po codziennym zabiegu wymiany osocza. Lek podaje się przez 30 dni po zakończeniu codziennych zabiegów wymiany osocza. Jeżeli jest to konieczne, lek Cablivi można podawać dłużej. Równocześnie stosuje się leczenie obniżające aktywność układu odpornościowego.

Po odpowiednim przeszkoleniu pacjenci lub ich opiekunowie mogą samodzielnie wykonywać wstrzyknięcia leku Cablivi.

---

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



Więcej informacji o sposobie stosowania leku Cablivi znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

## **Jak działa lek Cablivi**

U pacjentów z aTTP występuje podwyższone stężenie substancji o nazwie czynnik von Willebranda. Czynnik von Willebranda powoduje zlepianie się płytek krwi, które tworzą zakrzepy. Kaplacyzumab, substancja czynna leku Cablivi, to nanociało (małe przeciwciało) zaprojektowane tak, by przyłączało się do cząsteczek czynnika von Willebranda, blokując wpływ czynnika na płytki krwi. Dzięki temu płytki nie zlepiają się i nie tworzą zakrzepów w naczyniach krwionośnych. W wyniku tego liczba krążących płytek krwi wzrasta, ponieważ nie są już zużywane do tworzenia zakrzepów.

## **Korzyści ze stosowania leku Cablivi zaobserwowane w badaniach**

Skuteczność leku Cablivi u pacjentów z aTTP, którzy w leczeniu wymagali zabiegów wymiany osocza, oceniano w dwóch badaniach głównych. Wszyscy pacjenci otrzymywali w tym czasie standardowe leczenie.

W pierwszym badaniu, w którym uczestniczyło 75 pacjentów, liczba płytek krwi powróciła do normy średnio po 3 dniach u pacjentów otrzymujących Cablivi i 5 dniach u otrzymujących placebo (leczenie pozorowane).

W drugim badaniu z udziałem 145 pacjentów oceniano czas powrotu liczby płytek krwi do normy i zmniejszenia nasilenia objawów aTTP w stopniu pozwalającym na przerwanie zabiegów wymiany osocza w ciągu 5 dni. Stwierdzono, że u pacjentów przyjmujących lek Cablivi liczba płytek krwi częściej wracała do normy szybciej niż u osób otrzymujących placebo.

## **Ryzyko związane ze stosowaniem leku Cablivi**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Cablivi (mogące wystąpić u więcej niż 1 na 10 pacjentów) to krwawienia z nosa, ból głowy i krwawienia z dziąseł. Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Cablivi znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Cablivi w UE**

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Cablivi przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE. Agencja uznała, że u pacjentów z aTTP stosowanie leku Cablivi w połączeniu z wymianą osocza i leczeniem immunosupresyjnym może skrócić czas powrotu liczby płytek krwi do normy, co wiąże się ze skróceniem czasu leczenia wymianami osocza i krótszym pobytem na oddziale intensywnej opieki medycznej. Najważniejszym działaniem niepożądanym są krwawienia, lecz uznano, że można je opanować. Oczekuje się, że firma dostarczy wyniki badania bezpieczeństwa stosowania i skuteczności leku Cablivi w dłuższym okresie stosowania.

## **Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Cablivi**

Firma, która wprowadza lek Cablivi do obrotu, dostarczy materiały, w tym kartę ostrzeżeń dla pacjentów, dotyczące ryzyka poważnych krwawień i sposobu postępowania.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Cablivi w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Cablivi są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Cablivi są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

### **Inne informacje dotyczące leku Cablivi**

Dalsze informacje na temat leku Cablivi znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).