



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/244353/2020  
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 adultes et des enfants à partir de 12 ans pesant au moins 40 kg 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 un faible nombre de plaquettes (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 la substance active 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](http://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.

---

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



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 de PTTa, les niveaux d'une substance appelée facteur von Willebrand augmentent. Le facteur von Willebrand agit sur les plaquettes de sorte que celles-ci s'agrègent pour former des caillots de sang. Le caplacizumab, la substance active de Cablivi, est un nanocorps (un petit anticorps) qui a été conçu pour se fixer au facteur 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 diminue et, par conséquent, les taux de plaquettes dans le sang augmentent, car elles cessent de 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.

Bien que les études principales n'aient porté que sur des adultes, la société a fourni des données de modélisation supplémentaires indiquant que le médicament est également efficace chez les enfants âgés de 12 ans et plus pesant au moins 40 kg.

## **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: 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 de 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, ce qui entraîne une durée d'échanges plasmatiques plus courte et 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. Il est prévu que la société fournisse 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:**

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Cablivi, le 31 août 2018.

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_medicines/European_public_assessment_reports).

Dernière mise à jour du présent aperçu: 05-2020.