



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/244353/2020  
EMA/H/C/004426

## Cablivi (*kaplacizumab*)

A Cablivi-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

### **Milyen típusú gyógyszer a Cablivi és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

A Cablivi-t olyan felnőtteknél, illetve 12 éves és idősebb, legalább 40 kg testsúlyú gyermekeknél 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 vérlemezkeszáma (a véralvadásért felelős alkotóelemek) csökken.

A Cablivi-t plazmacserével (bizonyos antitestek vérből való eltávolítására szolgáló eljárás) és 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 vénába injekciónak. A kezelést a napi plazmacsere után a has bőre alá injekcióban befecskendezett 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 ápolóik megfelelő betanítást követően maguk is beadhatják a Cablivi-injekciót.

A Cablivi alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

---

**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



## Hogyan fejtí ki hatását a Cablivi?

Az aTTP-ben szenvedő betegeknél megnő az úgynevezett von Willebrand-faktor vérszintje. A von Willebrand-faktor a vérlemezkéket összetapadásra és vérrögök képzésére készíti. 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 lesznek lekötve a vérrögökben.

## Milyen előnyei voltak a Cablivi alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Cablivi hatásosságát 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 betegeknél 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 valószínűsíthetően gyorsabban tér vissza a normál tartományba a Cablivi-vel kezelt betegeknél, mint a placebóval kezelt betegek esetében.

Bár a fő vizsgálatokat kizárólag felnőttek bevonásával végezték, a vállalat további modellező adatokat nyújtott be, amelyek arra utaltak, hogy a gyógyszer ugyanolyan hatékony lesz 12 éves és idősebb, legalább 40 kg testsúlyú gyermekeknél is.

## Milyen kockázatokkal jár a Cablivi alkalmazása?

A Cablivi leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezik) az orrvérzés, fejfájás és az ínyvérzés. A Cablivi alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegájékoztatóban 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 alkalmazása az EU-ban engedélyezhető. Az Ügynökség megállapította, hogy az aTTP-ben szenvedő betegeknél a Cablivi plazmacserével és immunszuppresszióval egyidejű alkalmazása csökkentheti a vérlemezkeszám normál tartományba való 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 alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. 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**

2018. augusztus 31-én a Cablivi az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Cablivi-re vonatkozó további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 05-2020.