



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/244353/2020
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 indicato negli adulti e nei bambini a partire da 12 anni di età che pesano almeno 40 kg e che hanno un episodio di porpora trombotica trombocitopenica (PTT) acquisita, un disordine 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 (componenti che agevolano la coagulazione del sangue).

Cablivi è usato assieme allo scambio di plasma (una procedura che rimuove taluni anticorpi 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 qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/Find_medicine/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 disordini della coagulazione che interessano i vasi sanguigni di piccole dimensioni.

Cablivi viene iniziato con una dose di 10 mg somministrata mediante iniezione in vena prima dello scambio di plasma. Il trattamento viene proseguito con una dose di 10 mg al giorno somministrata mediante iniezione sottocutanea nell'addome dopo lo scambio di plasma giornaliero e si protrae per 30 giorni dopo l'interruzione dello scambio di plasma. 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.

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

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

An agency of the European Union



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 lo scambio di plasma 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 che assumono un placebo (un trattamento fittizio).

Il secondo studio, che ha coinvolto 145 pazienti, ha misurato il tempo necessario alla normalizzazione della conta piastrinica e a un miglioramento della condizione sufficiente a consentire l'interruzione dello scambio di plasma giornaliero 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 un placebo.

Benché gli studi principali annoverassero unicamente adulti, la ditta ha fornito dati di modellazione aggiuntivi che indicano che il medicinale è altrettanto efficace nei bambini a partire da 12 anni di età, di peso corporeo pari ad almeno 40 kg.

Quali sono i rischi associati a Cablivi?

Gli effetti indesiderati più comuni di Cablivi (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono sangue dal naso, cefalea e sanguinamento gengivale. Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati 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 che il suo uso può essere autorizzato nell'UE. L'Agenzia ha ritenuto che, nei pazienti con PTT acquisita, Cablivi, combinato con scambio di plasma e immunosoppressione, può ridurre il tempo necessario alla normalizzazione della conta piastrinica, che è associata a una minore durata del trattamento aferetico e a una permanenza più breve in una struttura 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

Cablivi ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 31 agosto 2018.

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).

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 05-2020.