



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cablivi (*caplacizumab*)

Een overzicht van Cablivi en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Cablivi en wanneer wordt het voorgeschreven?

Cablivi is een geneesmiddel dat wordt gebruikt bij volwassenen en kinderen van twaalf jaar en ouder die minimaal 40 kg wegen en die een episode doormaken van verworven thrombotische thrombocytopenische purpura (aTTP), een bloedstollingsstoornis. Tijdens een aTTP-episode vormen zich bloedstolsels in de kleine bloedvaten en heeft de patiënt een laag aantal bloedplaatjes (bestanddelen die het bloed helpen stollen).

Cablivi wordt gebruikt in combinatie met plasma-uitwisseling (een procedure waarbij bepaalde antilichamen uit het bloed worden verwijderd) en behandelingen om de activiteit van het immuunsysteem (de afweer van het lichaam) te verminderen.

Cablivi bevat de werkzame stof caplacizumab.

aTTP is zeldzaam, en Cablivi werd op 30 april 2009 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Hoe wordt Cablivi gebruikt?

Cablivi is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. De behandeling moet worden gestart door en plaatsvinden onder toezicht van een arts die ervaring heeft met het behandelen van patiënten met stollingsstoornissen in de kleine bloedvaten.

De behandeling met Cablivi wordt gestart met een dosis van 10 mg die vóór de plasma-uitwisseling via injectie in een ader wordt toegediend. De behandeling wordt voortgezet met een dagelijkse dosis van 10 mg die via onderhuidse injectie in de buik wordt toegediend ná de dagelijkse plasma-uitwisseling. Na stopzetting van deze dagelijkse plasma-uitwisseling wordt Cablivi nog gedurende 30 dagen toegediend. Indien nodig kan de behandeling met Cablivi langer worden voortgezet. Patiënten krijgen ook behandelingen om de activiteit van het immuunsysteem te verminderen.

Patiënten of hun verzorgers kunnen na de juiste training Cablivi zelf injecteren.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Cablivi.

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



Hoe werkt Cablivi?

Bij patiënten met aTTP is de concentratie van de zogeheten von-willebrandfactor verhoogd. Deze factor werkt in op bloedplaatjes en zorgt ervoor dat deze samenkleven en bloedstolsels vormen.

Caplacizumab, de werkzame stof in Cablivi, is een nanobody (een klein antilichaam) dat is ontwikkeld om zich zodanig aan de von-willebrandfactor te hechten dat de inwerking ervan op bloedplaatjes wordt stopgezet. Dit vermindert het samenkleven van bloedplaatjes en de vorming van stolsels in bloedvaten. Als gevolg hiervan stijgt de concentratie bloedplaatjes in het bloed omdat ze niet langer stolsels vormen.

Welke voordelen bleek Cablivi tijdens de studies te hebben?

In twee hoofdstudies is onderzoek gedaan naar de werkzaamheid van Cablivi bij patiënten met aTTP die plasma-uitwisseling nodig hadden om hun aandoening te behandelen. Alle patiënten kregen de standaardbehandeling.

In de eerste studie onder 75 patiënten was de concentratie bloedplaatjes bij patiënten die werden behandeld met Cablivi, na gemiddeld drie dagen teruggekeerd naar het normale bereik, vergeleken met bijna vijf dagen bij degenen die placebo (een schijnbehandeling) kregen.

In de tweede studie onder 145 patiënten werd gemeten hoe lang het duurde totdat het aantal bloedplaatjes naar het normale bereik was teruggekeerd en hoe lang het duurde totdat de toestand voldoende was verbeterd om de dagelijkse plasma-uitwisseling binnen vijf dagen te kunnen stopzetten. Deze studie wees uit dat het aantal bloedplaatjes waarschijnlijk sneller naar het normale bereik zou terugkeren bij patiënten die met Cablivi werden behandeld dan bij degenen die placebo kregen.

Hoewel aan de hoofdstudies alleen volwassenen deelnamen, heeft de firma aanvullende modelleringsgegevens verstrekt, waaruit blijkt dat het geneesmiddel even werkzaam zal zijn bij kinderen van twaalf jaar en ouder die minimaal 40 kg wegen.

Welke risico's houdt het gebruik van Cablivi in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Cablivi (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn neusbloedingen, hoofdpijn en bloedend tandvlees. Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Cablivi.

Waarom is Cablivi geregistreerd in de EU?

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Cablivi groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU. Het Europees Geneesmiddelenbureau was van mening dat, bij patiënten met aTTP, Cablivi in combinatie met plasma-uitwisseling en immunosuppressie de tijd kan verkorten totdat het aantal bloedplaatjes naar het normale bereik is teruggekeerd, wat gepaard gaat met een kortere duur van de plasma-uitwisselingsbehandeling en een korter verblijf op de afdeling intensive care. De belangrijkste bijwerking van de behandeling bestaat uit bloedingen, maar deze bijwerking wordt als beheersbaar beschouwd. Van de firma wordt verwacht dat zij de resultaten zal overleggen van een studie naar de veiligheid en werkzaamheid van Cablivi gedurende een langere periode.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Cablivi te waarborgen?

De firma die Cablivi in de handel brengt, zal materialen (inclusief een waarschuwingskaart voor de patiënt) verstrekken over het risico op ernstige bloedingen en hoe dit risico dient te worden beheerst.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Cablivi, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Cablivi continu gevolgd. Bijwerkingen waargenomen voor Cablivi worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Cablivi

Op 31 augustus 2018 is een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Cablivi verleend.

Meer informatie over Cablivi is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 05-2020.