



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Cablivi (*kaplacyzumab*)

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

Czym jest lek Cablivi i w jakim celu się go stosuje

Cablivi jest lekiem stosowanym w leczeniu osób dorosłych i dzieci od 12. roku życia o wadze ciała co najmniej 40 kg, 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 (zabieg polegający na usunięciu z krwi pewnych przeciwciał) i leczeniem obniżającym aktywność układu odpornościowego (układ obronny organizmu).

Lek Cablivi zawiera substancję czynną kaplacyzumab.

Ze względu na to, że chorobę aTTP uznano za rzadko występującą, w dniu 30 kwietnia 2009 r. lek Cablivi uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć tutaj: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation

Jak stosować lek Cablivi

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinno być 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 brzuch 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.



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. Kapłacyzumab, 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.

Mimo że w badaniach głównych wzięły udział jedynie osoby dorosłe, firma przedstawiła dodatkowe dane modelowe wskazujące na to, że lek będzie równie skuteczny u dzieci od 12. roku życia ważących co najmniej 40 kg.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Cablivi

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Cablivi (mogące wystąpić częściej niż u 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 przez wymianę 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

Lek Cablivi otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 31 sierpnia 2018 r.

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.

Data ostatniej aktualizacji: 05.2020.