



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Cablivi (*kaplacizumab*)

Sammanfattning av Cablivi och varför det är godkänt inom EU

### Vad är Cablivi och vad används det för?

Cablivi är ett läkemedel som används för att behandla vuxna och barn från 12 års ålder som väger minst 40 kg med en episod av förvärvad trombotisk trombocytopenisk purpura (aTTP), som är en koagulationssjukdom. Under en episod av aTTP bildas blodproppar i små blodkärl samtidigt som patienten har ett lågt antal blodplättar ("trombocyter", komponenter som hjälper blodet att koagulera).

Cablivi används tillsammans med plasmabytesbehandling (ett förfarande där vissa antikroppar tas bort från blodet) och behandlingar för att sänka immunsystemets aktivitet (kroppens försvar).

Cablivi innehåller den aktiva substansen kaplacizumab.

aTTP är sällsynt och Cablivi klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 30 april 2009. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns här: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation)

### Hur används Cablivi?

Cablivi är receptbelagt. Behandlingen ska påbörjas och övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla patienter med koagulationssjukdomar som påverkar små blodkärl.

Behandlingen med Cablivi inleds med en dos på 10 mg som ges som en injektion i en ven före plasmabytesbehandlingen. Behandlingen fortsätter med 10 mg dagligen genom injektion under huden i magen efter daglig plasmabytesbehandling, och fortsätter i 30 dagar efter att daglig plasmabytesbehandling avbrutits. Behandlingen med Cablivi kan fortsätta längre tid om så behövs. Patienterna får också behandlingar för att sänka immunsystemets aktivitet.

Patienter eller vårdare kan ge Cablivi själva efter att de fått lära sig hur man gör.

För att få mer information om hur du använder Cablivi, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

### Hur verkar Cablivi?

Hos patienter med aTTP är nivån av ett ämne som kallas von Willebrand-faktor förhöjd. von Willebrand-faktorn verkar på blodplättarna så att de klibbar ihop och bildar blodproppar.

---

**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



Kaplacizumab, den aktiva substansen i Cablivi, är en nanoantikropp (en liten antikropp) som har utformats för att fästa vid von Willebrand-faktorn på ett sätt som förhindrar att den verkar på blodplättar. Detta gör att blodplättarna klibbar ihop mindre och bildar färre proppar i blodkärlen, vilket ökar nivåerna av blodplättar i blodet eftersom de inte längre tas upp för att bilda proppar.

## **Vilka fördelar med Cablivi har visats i studierna?**

I två huvudstudier har Cablivis effekt undersökts hos patienter med aTTP som behövde plasmabytesbehandling för sin sjukdom. Alla patienter fick standardbehandling.

I den första studien, på 75 patienter, återgick antalet blodplättar till det normala intervallet efter i genomsnitt 3 dagar hos patienterna som behandlades med Cablivi, jämfört med nästan 5 dagar hos dem som fick placebo (en överksam behandling).

I den andra studien, på 145 patienter, mätte man den tid det tog tills antalet blodplättar återgick till det normala intervallet och sjukdomen förbättrades tillräckligt för att daglig plasmabytesbehandling skulle kunna avbrytas inom 5 dagar. I studien fann man att antalet blodplättar sannolikt skulle kunna återgå till det normala intervallet snabbare hos de patienter som behandlades med Cablivi än hos dem som fick placebo.

Även om huvudstudien endast omfattade vuxna har företaget lämnat in ytterligare modelldata som visar att läkemedlet kommer att vara lika effektivt hos barn från 12 års ålder och som väger minst 40 kg.

## **Vilka är riskerna med Cablivi?**

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Cablivi (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är näsblod, huvudvärk och blödande tandkött. En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Cablivi finns i bipacksedeln.

## **Varför är Cablivi godkänt i EU?**

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Cablivi är större än riskerna och att Cablivi kan godkännas för försäljning i EU. EMA fann att Cablivi i kombination med plasmabytesbehandling och immunsuppression hos patienter med aTTP kan minska den tid det tar tills blodplättarna återgår till det normala intervallet, vilket är förknippat med kortare plasmabytesbehandling och kortare vistelse i intensivvården. Den viktigaste biverkningen av behandlingen är blödning, vilken dock anses vara hanterbar. Företaget förväntas tillhandahålla resultaten av en studie om Cablivis säkerhet och effekt över en längre period.

## **Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Cablivi?**

Företaget som marknadsför Cablivi ska lämna in material, bland annat ett patientinformationskort, om risken för allvarlig blödning och hur risken bör hanteras.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Cablivi har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Cablivi kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Cablivi utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

## **Mer information om Cablivi**

Den 31 augusti 2018 beviljades Cablivi ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Cablivi finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European_public_assessment_reports).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 05-2020.