



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17 септември 2021 г.
EMA/507929/2021
EMA/H/C/005551

Оттегляне на заявлението за разрешаване за употреба на Livmarli (мараликсибатов хлорид)

FGK Representative Service GmbH оттегли заявлението си за разрешаване за употреба на Livmarli за лечение на прогресивна фамилна интрахепатална холестаза тип 2 (PFIC2) при пациенти на възраст 1 година и повече.

Фирмата оттегли заявлението си на 23 Август 2021 г.

Какво представлява Livmarli и за какво е предназначен да се използва?

Livmarli е разработен като лекарство за лечение на прогресивна PFIC2 при пациенти на възраст 1 година и повече. PFIC2 е наследствено чернодробно нарушение, при което в кръвта и в черния дроб се натрупват жлъчни киселини и причиняват сърбеж и увреждане на черния дроб. Тези жлъчни киселини са компоненти на жлъчката — течност, произвеждана от черния дроб и освобождавана в червата, за да се подпомогне храносмилането.

Livmarli съдържа активното вещество мараликсибатов хлорид (maralixibat chloride) и е предназначен да се предлага под формата на разтвор за прием през устата.

Това лекарство е определено като „лекарство сирак“ (лекарство, което се използва при редки болести) на 16 януари 2014 г. за лечение на прогресивна фамилна интрахепатална холестаза. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите на уебсайта на Агенцията: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3131216>.

Как действа Livmarli?

Очаква се лекарството да намали количеството на жлъчните киселини в кръвта и черния дроб. Счита се, че активното вещество в Livmarli — мараликсибатов хлорид, блокира действието на протеин, известен като ASBT, който помага за пренасянето на жлъчни киселини от червата обратно в кръвта и черния дроб. Когато протеините ASBT са блокирани, жлъчните киселини вместо това се екскретират от организма. Очаква се това да намали натрупването на жлъчни киселини в кръвта и черния дроб и по този начин да се намали сърбежа и увреждането на черния дроб, наблюдавани при пациенти с PFIC2.

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



Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата е представила резултатите от едно проучване, обхващащо 25 пациенти с PFIC2, които са на възраст от 1 до 13 години и са лекувани с Livmarli в продължение на най-много 5 години или повече. Основната мярка за ефективност е понижаването на нивото на жлъчните киселини в кръвта след 13-седмично лечение. Livmarli не е сравняван с други лекарства или плацебо (сляпо лечение).

На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?

Заявлението е оттеглено, след като Европейската агенция по лекарствата е оценила първоначалната информация, представена от фирмата, и е изготвила списък с въпроси. Към момента на оттеглянето фирмата все още не е отговорила на въпросите.

Какви са препоръките на Агенцията към момента на оттеглянето?

Въз основа на прегледа на данните, към момента на оттеглянето Агенцията има известни опасения и изразява предварителното становище, че не е било възможно Livmarli да бъде одобрен за лечение на PFIC2.

Опасенията на Агенцията се отнасят до ефективността на лекарството при лечението на PFIC2 въз основа на важни неясноти относно наличните данни. По отношение на ефективността проучването не показва значим ефект от лечението при пациенти с PFIC2 след 13-седмично лечение. Поради това не е възможно да се направят заключения относно дългосрочната ефективност на Livmarli в целевата популация пациенти. Освен това Агенцията има опасения относно някои аспекти на производствения процес и спазването на добрите производствени практики.

Поради това към момента на оттеглянето становището на Агенцията е, че ползите от Livmarli не превишават рисковете.

Какви причини посочва фирмата за оттегляне на заявлението?

В [писмото](#), с което фирмата уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, се посочва, че решението за оттегляне се основава на промяна в бизнес и регулаторните стратегии на фирмата след обсъждане с CHMP и в очакване на предстоящи допълнителни данни.

Какви са последствията от оттеглянето за пациентите, участващи в клинични изпитвания?

Фирмата е уведомила Агенцията, че няма последствия за пациентите, включени понастоящем в клинични изпитвания с Livmarli.

Ако участвате в клинично изпитване и се нуждаете от повече информация за вашето лечение, говорете с вашия лекар, провеждащ клиничното изпитване.