



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/270686/2024
EMA/H/C/005857

Livmarli (*maralixibat chloride*)

Общ преглед на Livmarli и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Livmarli и за какво се използва?

Livmarli е лекарство, което се използва за лечение на пациенти на възраст 2 месеца и повече с холестатичен пруритус (интензивен сърбеж, дължащ се на натрупване на жлъчка), причинен от синдром на Alagille. Използва се също за лечение на пациенти на възраст 3 месеца и повече с прогресивна фамилна интрахепатална холестаза.

Синдромът на Alagille и прогресивната фамилна интрахепатална холестаза са наследствени заболявания, при които жлъчката (течност, произвеждана в черния дроб, която помага за разграждането на мазнините) не може да се оттича по подходящ начин от черния дроб, което води до натрупване на жлъчна киселина в черния дроб и кръвта. Един от симптомите на това натрупване е холестатичен пруритус. Интрахепаталната холестаза се свързва с прогресивно чернодробно увреждане и може да доведе до цироза и чернодробно увреждане в краен стадий.

Тези заболявания се считат за редки и Livmarli е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания). Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на уебсайта на ЕМА ([синдром на Alagille](#); [прогресивна фамилна интрахепатална холестаза](#)).

Livmarli съдържа активното вещество мараликсибатов хлорид (maralixibat chloride).

Как се използва Livmarli?

Лечението с Livmarli трябва да бъде започнато и наблюдавано от лекар с опит в лечението на чернодробни заболявания, като синдром на Alagille и прогресивна фамилна интрахепатална холестаза. Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание.

Livmarli се предлага под формата на разтвор за прием през устата. Дозата зависи от заболяването, което се лекува. В случай че пациентът развие определени нежелани реакции, може да се наложи да се намали дозата или да се прекъсне лечението. Лекарят трябва да обмисли алтернативно лечение при пациенти, които не показват подобрение след 3 месеца.

За повече информация относно употребата на Livmarli вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.



Как действа Livmarli?

Активното вещество в Livmarli, мараликсібатов хлорид, блокира действието на протеин, наречен апикален натриево-зависим транспортер на жлъчна киселина (ASBT), известен още като илеален транспортер на жлъчна киселина (IBAT), който помага за преноса на жлъчни киселини от червата обратно в кръвта и черния дроб. Като блокира ASBT, лекарството намалява количеството на жлъчните киселини, които се пренасят от червата в черния дроб. Това води до отстраняване на прекомерната жлъчна киселина от организма, като по този начин се намалява натрупването на жлъчна киселина и се облекчават симптомите на холестатичния пруритус.

Какви ползи от Livmarli са установени в проучванията?

Синдром на Alagille

Ползите от Livmarli са оценени в две основни проучвания. В първото проучване 31 деца на възраст от 1 до 18 години със синдром на Alagille са лекувани с Livmarli в продължение на 18 седмици, след което се оценява как са се повлияли от лечението.

На 29-те пациенти, при които е настъпило понижение на нивата на жлъчната киселина в кръвта най-малко с 50 % след първоначалното 18-седмично лечение с лекарството, впоследствие е определено да получат плацебо (сляпо лечение) или Livmarli в продължение на 4 седмици. Резултатите показват, че при пациентите, които са продължили лечението с Livmarli в продължение на 4 седмици, все още има намаление на нивото на жлъчните киселини, докато при пациентите, преминали към плацебо, е налице значително повишение. След този 4-седмичен период всички пациенти получават отново Livmarli. Когато пациентите, приемащи плацебо, възобновят лечението с Livmarli, кръвните им нива намаляват до нивата, наблюдавани преди това с Livmarli. В проучването се показва също, че лечението с Livmarli подобрява симптомите на сърбежа, свързан със заболяването.

Във второто проучване, обхващащо 8 деца на възраст между 2 месеца и по-малко от 1 година, Livmarli не е сравнен с друго лечение или плацебо. Резултатите от проучването показват, че след 13-седмично лечение пациентите имат средно подобрене на симптомите на сърбежа, свързан със заболяването, и намаляват нивата на жлъчните киселини в кръвта.

Прогресивна фамилна интрахепатална холестаза

Ползите от Livmarli са оценени в основно проучване при 93 деца на възраст от 1 до 15 години с прогресивна фамилна интрахепатална холестаза. Пациентите получават Livmarli или плацебо в продължение на 26 седмици, след което се оценява тяхното повлияване от лечението. Резултатите показват, че при пациентите, приемащи Livmarli, има намаление на нивото на жлъчната киселина в кръвта, докато при пациентите, приемащи плацебо, нивата на жлъчната киселина не се променят. Интензивността на сърбежа, наблюдаван при пациентите, също намалява повече при пациентите, приемащи Livmarli, в сравнение с плацебо.

Какви са рисковете, свързани с Livmarli?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Livmarli вижте листовката.

При пациенти със синдром на Alagille най-честите нежелани реакции при Livmarli (които може да засегнат повече от 1 на 5 души) включват диария и абдоминална болка (болка в корема). При пациенти с прогресивна фамилна интрахепатална холестаза диария може да се появи при повече от 1 на 5 души, а коремна болка може да възникне при не повече от 1 на 10 души.

Защо Livmarli е разрешен за употреба в ЕС?

Синдромът на Alagille и прогресивната фамилна интрахепатална холестаза са животозастрашаващи заболявания с ограничени възможности за лечение. Тъй като и двете заболявания са много редки, проучванията са малки и подлежат на ограничения, но е доказано, че Livmarli е ефективен за намаляване на количеството жлъчна киселина в кръвта на пациенти с прогресивна фамилна интрахепатална холестаза и подобряване на симптомите, например интензивен сърбеж, при пациенти с едно от двете заболявания. Въпреки че данните за безопасността на Livmarli са ограничени и е необходимо да се съберат допълнителни данни, нежеланите реакции, наблюдавани към днешна дата, се считат за приемливи. Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Livmarli са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Livmarli е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Причината е, че не е било възможно да се получи пълна информация за Livmarli поради рядкото разпространение на заболяването. Всяка година Европейската агенция по лекарствата ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

Каква информация се очаква за Livmarli?

Тъй като Livmarli е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“, фирмата, която предлага Livmarli, ще предоставя ежегодни актуализации във връзка с всяка нова информация относно безопасността и ефективността на Livmarli. В допълнение фирмата ще проведе и представи резултатите от проучване за допълнително характеризиране на дългосрочната безопасност и ефективност на лекарството за лечение на холестатичен пруритус при пациенти със синдром на Alagille и прогресивна фамилна интрахепатална холестаза.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Livmarli?

Фирмата, която предлага Livmarli, ще предостави на лекарите материали, за да им помогне да разясняват на пациентите с прогресивна фамилна интрахепатална холестаза кога и как да приемат това лекарство и какво количество трябва да приемат.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Livmarli, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Livmarli непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Livmarli, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Livmarli:

Livmarli получава разрешение за употреба при извънредни обстоятелства, валидно в ЕС, на 9 декември 2022 г.

Допълнителна информация за Livmarli можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/livmarli.

Дата на последно актуализиране на текста 07-2024.