



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

3 декември 2024 г.

Отмяна на разрешението за употреба под условие за Ocaliva

Ползите от Ocaliva вече не се считат за по-големи от рисковете

На 27 юни 2024 г. Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на ЕМА приключи преразглеждането на лекарството Ocaliva (обетихолева киселина) и препоръча отмяна на разрешението за употреба на лекарството, тъй като се счита, че ползите от него вече не превишават рисковете. Ocaliva се използва за лечение на възрастни с първичен билиарен холангит (ПБХ) — аутоимунно заболяване, причиняващо постепенно разрушаване на жлъчните канали в черния дроб, което може да доведе до чернодробна недостатъчност и да повиши риска от рак на черния дроб.

Към момента на издаване на разрешението за употреба под условие през 2016 г. е показано, че Ocaliva намалява нивата на алкалната фосфатаза (ALP) и билирубина (маркери за увреждане на черния дроб) в кръвта при пациенти с ПБХ, а това се счита за признак за подобрене в състоянието на черния дроб. Клиничните ползи от Ocaliva обаче трябваше да бъдат показани в допълнителни проучвания, които са поискани от ЕМА като част от условията за издаване на разрешение за употреба на лекарствения продукт. По-специално [проучване 747-302](#) е рандомизирано клинично изпитване, което има за цел да потвърди клиничните ползи и безопасността на Ocaliva при пациенти, при които урсodeоксихолевата киселина (UDCA, друго лекарство за ПБХ) не действа достатъчно добре или които не могат да приемат UDCA.

CHMP преразглежда констатациите от това проучване заедно с други налични данни, включително данни от практиката и данни от подкрепящи проучвания, представени от фирмата, която предлага Ocaliva, и информация, предоставена от медицински специалисти и асоциации на пациенти. В допълнение към това CHMP взе предвид обратната информация от група експерти по чернодробни заболявания, която предостави становищата си по конкретни въпроси, поставени от CHMP, и мненията на хора, страдащи от ПБХ.

След като разгледа наличните доказателства, комитетът стигна до заключението, че клиничните ползи от Ocaliva не са потвърдени. По-специално с проучване 747-302 не е показано, че Ocaliva е по-ефективен от плацебо (сляпо лечение) по отношение на броя на пациентите, чието заболяване се е влошило или които са починали, както в общата популация, така и в група пациенти с ранен стадий на ПБХ.

Комитетът също така счита, че данните от поддържащите проучвания и данните от реални условия не са достатъчни, за да се потвърдят ползите от Ocaliva, и не могат да компенсират отрицателните резултати от проучване 747-302. Поради това CHMP заключава, че ползите от

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



Ocaliva не превишават рисковете, и препоръча отмяна на разрешението за употреба в Европейския съюз (ЕС).

Становището на CHMP е изпратено до Европейската комисия, която на 30 август 2024 г. издава правнообвързващо решение, приложимо във всички държави — членки на ЕС.

Информация за пациентите

- В неотдавнашно проучване не е потвърдено, че лекарството Ocaliva (обетихолева киселина) е ефективно за лечение на първичен билиарен холангит (ПБХ, аутоимунно състояние, което причинява постепенно разрушаване на малките жлъчни канали в черния дроб).
- С проучване 747-302 не е показано, че Ocaliva е по-ефективен от плацебо (сляпо лечение) по отношение на броя на пациентите, чието заболяване се е влошило или които умират, както в общата популация, така и в група пациенти с ранен стадий на ПБХ.
- Поради това Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на ЕМА препоръча Ocaliva да се изтегли от пазара на Европейския съюз, тъй като се счита, че ползите от него вече не превишават рисковете. Фирмата обаче все още може да доставя лекарството на пациенти, които вече получават Ocaliva, чрез програми за състрадателна употреба или програми за конкретни пациенти.
- Ако приемате Ocaliva, трябва да говорите с Вашия лекар за това решение и какви са последиците от него за Вас и за Вашето лечение.

Информация за медицинските специалисти

- При прегледа на наличните данни е заключено, че клиничните ползи от Ocaliva (обетихолева киселина), използван за лечение на първичен билиарен холангит (ПБХ), не са потвърдени.
- По-специално с проучване 747-302 не са показани разлики между Ocaliva и плацебо по отношение на основната комбинирана крайна точка — смърт, чернодробна трансплантация или чернодробна декомпенсация в общата популация от пациенти с ПБХ, които или не се повлияват, или имат непоносимост към урсодеоксихолева киселина (HR 1,01 [95 % CI: 0,68, 1,51], p-стойност: 0,954).
- Поради това ЕМА препоръчва разрешението за употреба на Ocaliva да бъде отменено в Европейския съюз, тъй като вече не се счита, че ползите от лекарствения продукт превишават рисковете. Фирмата обаче все още може да доставя лекарството на съществуващи пациенти чрез програми за състрадателна употреба или програми за конкретни пациенти.
- Медицинските специалисти не трябва да започват лечение с Ocaliva на нови пациенти извън клинично изпитване. За пациентите, които понастоящем са на лечение с Ocaliva, следва да се обмислят наличните възможности за лечение.

Изпратено е директно съобщение до медицинските специалисти (DHPC), които предписват, отпускат или прилагат лекарството. Освен това DHPC е публикувано на [специална страница](#) на уебсайта на ЕМА.

Повече за лекарството

Ocaliva (обетихолева киселина) се използва за лечение на възрастни с първичен билиарен холангит (ПБХ) — автоимунно заболяване, при което има постепенно разрушаване на жлъчните канали в черния дроб. В резултат на увреждането на жлъчните канали в черния дроб се натрупва жлъчен сок и причинява увреждане на чернодробната тъкан. Това може да доведе до натрупване на фиброзна тъкан и чернодробна недостатъчност, което има потенциал да увеличи риска от рак на черния дроб. Ocaliva се използва в комбинация с друго лекарство, урсоеоксихолева киселина (UDCA), при пациенти, които не се повлияват в достатъчна степен само от UDCA, и самостоятелно при пациенти, които не могат да приемат UDCA.

ПБХ се счита за рядко заболяване и Ocaliva е [определен като „лекарство сирак“](#) (лекарство, използвано при редки заболявания) на 27 юли 2010 г.

Ocaliva получава [разрешение за употреба под условие](#) през декември 2016 г. Разрешението под условие се издава въз основа на по-малко изчерпателни данни от обичайно изискваните. Издава се за лекарства, които отговарят на неудовлетворена медицинска нужда от лечение на сериозни заболявания, и когато ползите от по-ранното им предлагане превишават рисковете, свързани с употребата на лекарствата, докато се очакват допълнителни данни.

Към момента на одобряването основното проучване показва, че Ocaliva намалява кръвните равнища на веществата ALP и билирубин (маркери за увреждане на черния дроб) при пациенти с ПБХ, включително при пациенти, които не могат да бъдат лекувани с UDCA. Счита се, че намаляването на ALP и билирубина е показател за бъдещо подобрене на състоянието на черния дроб. Ползите от Ocaliva обаче трябва да бъдат потвърдени в допълнителни проучвания.

Поради това на лекарството е издадено разрешение за употреба, при условие че фирмата предостави допълнителни данни за ползите и безопасността от две допълнителни проучвания (проучване 747-302 и проучване 747-401).

Повече информация за лекарството можете да намерите на [уебсайта на ЕМА](#).

Повече за процедурата

Преразглеждането на Ocaliva е започнато по искане на Европейската комисия съгласно [член 20 от Регламент \(ЕО\) № 726/2004](#).

Преразглеждането е извършено от Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP), отговарящ за въпросите, свързани с лекарствата за хуманна употреба, който приема становището на Агенцията. Становището на CHMP е изпратено до Европейската комисия, която на 30 август 2024 г. издава правно обвързващо решение, приложимо във всички държави — членки на ЕС.

С определение от 4 септември 2024 г. по дело T-455/24 R председателят на Общия съд временно спира изпълнението на решението на Европейската комисия от 30 август 2024 г., с което се отменя разрешението за употреба под условие на Ocaliva.

С определение от 26 ноември 2024 г. председателят на Общия съд отменя предишното си определение от 4 септември 2024 г. Това означава, че отмяната от страна на Европейската комисия на разрешението за употреба под условие за Ocaliva вече е в сила.