



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17. září 2021
EMA/507929/2021
EMA/H/C/005551

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Livmarli (maralixibat chlorid)

Společnost FGK Representative Service GmbH stáhla svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Livmarli určeného k léčbě progresivní familiární intrahepatální cholestázy typu 2 (PFIC2) u pacientů ve věku od 1 roku.

Společnost svou žádost stáhla dne 23. srpna 2021.

Co je přípravek Livmarli a k čemu měl být používán?

Přípravek Livmarli byl vyvinut jako léčivý přípravek k léčbě progresivní familiární intrahepatální cholestázy typu 2 u pacientů ve věku od 1 roku. Progresivní familiární intrahepatální cholestáza typu 2 je dědičné onemocnění jater, při kterém se v krvi a játrech hromadí žlučové kyseliny a které způsobuje svědění a poškození jater. Tyto žlučové kyseliny jsou složky žluči, což je tekutina tvořená v játrech a vylučovaná do střev za účelem usnadnění trávení.

Přípravek Livmarli obsahuje léčivou látku maralixibat chlorid a měl být dostupný ve formě roztoku k užívání ústy.

Tento léčivý přípravek byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 16. ledna 2014 a měl být určen k léčbě progresivní familiární intrahepatální cholestázy. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3131216>.

Jak přípravek Livmarli působí?

Očekává se, že tento léčivý přípravek snižuje množství žlučových kyselin v krvi a játrech. Předpokládá se, že léčivá látka v přípravku Livmarli, maralixibat chlorid, blokuje působení bílkoviny známé jako ASBT, která pomáhá přepravovat žlučové kyseliny ze střev zpět do krve a jater. Při blokování bílkoviny ASBT se žlučové kyseliny místo toho vylučují z těla. Očekává se, že se tím sníží hromadění žlučových kyselin v krvi a játrech a zároveň zmírní svědění a poškození jater pozorované u pacientů s progresivní familiární intrahepatální cholestázou typu 2.

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



Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky jediné studie zahrnující 25 pacientů s progresivní familiární intrahepatální cholestázou typu 2, kteří byli ve věku 1 až 13 let a byli léčeni přípravkem Livmarli po dobu až 5 let nebo déle. Hlavním měřítkem účinnosti bylo snížení hladiny žlučových kyselin v krvi po 13 týdnech léčby. Přípravek Livmarli nebyl srovnáván s jinými léčivými přípravky nebo placebem (neúčinným přípravkem).

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Žádost byla stažena poté, co Evropská agentura pro léčivé přípravky posoudila výchozí dokumentaci předloženou společností a vypracovala otázky pro společnost. V době stažení žádosti nebyly tyto otázky společností zodpovězeny.

Jaké bylo doporučení agentury v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů měla agentura v době stažení žádosti určité pochybnosti a její prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Livmarli nemůže být schválen k léčbě progresivní familiární intrahepatální cholestázy typu 2.

Obavy agentury se týkaly účinnosti tohoto přípravku v rámci léčby progresivní familiární intrahepatální cholestázy typu 2 na základě značné nejistoty ohledně dostupných údajů. Pokud jde o účinnost, studie u pacientů s progresivní familiární intrahepatální cholestázou typu 2 neprokázala po 13 týdnech léčby významný léčebný účinek. Nebylo proto možné vyvodit závěry o dlouhodobé účinnosti přípravku Livmarli v cílové populaci pacientů. Agentura měla pochybnosti také o některých aspektech výrobního procesu a dodržování správné výrobní praxe.

Agentura proto v době stažení žádosti zastávala názor, že přínosy přípravku Livmarli nepřevyšují jeho rizika.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že rozhodnutí stáhnout žádost je založeno na změně obchodní a regulační strategie společnosti po projednání s výborem CHMP a v očekávání dalších údajů.

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií?

Společnost informovala agenturu, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou v současné době zařazení do klinických studií s přípravkem Livmarli.

Pokud jste zařazení do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.