



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Livmarli (maralixibatchlorid)

FGK Representative Service GmbH har tilbagetrukket sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Livmarli til behandling af progressiv familiær intrahepatisk kolestase type 2 (PFIC2) hos patienter i alderen 1 år og derover.

Virksomheden trak ansøgningen tilbage den 23. august 2021.

Hvad er Livmarli, og hvad forventedes det anvendt til?

Livmarli blev udviklet som et lægemiddel til behandling af progressiv PFIC2 hos patienter i alderen 1 år og derover. PFIC2 er en arvelig leversygdom, hvor galdesyre ophobes i blodet og leveren og medfører kløe og leverskade. Galdesyrene findes i galden, som er en væske, der produceres i leveren og frigives i tarmene for at fremme fordøjelsen.

Livmarli indeholder det aktive stof maralixibatchlorid og skulle have været leveret som en opløsning til at tage gennem munden.

Dette lægemiddel blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 16. januar 2014 til behandling af progressiv familiær intrahepatisk kolestase. Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme findes på agenturets websted under:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3131216>.

Hvordan virker Livmarli?

Lægemidlet forventes at nedsætte mængden af galdesyre i blodet og leveren. Det aktive stof i Livmarli, maralixibatchlorid, menes at blokere virkningen af et protein kaldet ASBT, som hjælper med at transportere galdesyre fra tarmene tilbage til blodet og leveren. Når ASBT-proteinerne blokeres, udskilles galdesyrene i stedet fra kroppen. Dette forventes at mindske ophobningen af galdesyre i blodet og leveren og dermed mindske kløe og leverskade hos patienter med 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



Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden fremlagde resultaterne af et enkelt studie omfattende 25 patienter med PFIC2, som var 1-13 år gamle, og som var blevet behandlet med Livmarli i op til fem år eller længere. Virkningen blev hovedsageligt bedømt på faldet i indholdet af galdesyre i blodet efter 13 ugers behandling. Livmarli blev ikke sammenlignet med andre lægemidler eller placebo (en uvirksom behandling).

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at Det Europæiske Lægemiddelagentur havde vurderet den information, som virksomheden oprindeligt havde fremlagt, og udarbejdet spørgsmål til virksomheden. Virksomheden havde ikke besvaret spørgsmålene, da ansøgningen blev trukket tilbage.

Hvad anbefalede agenturet på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde agenturet haft visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Livmarli ikke kunne være blevet godkendt til behandling af PFIC2.

Agenturets betænkeligheder vedrørte lægemidlets effektivitet ved behandling af PFIC2 på baggrund af væsentlige usikkerheder ved de foreliggende data. Hvad angår effektiviteten, viste studiet ingen væsentlig behandlingseffekt hos patienter med PFIC2 efter 13 ugers behandling. Det var derfor ikke muligt at drage konklusioner om den langsigtede effektivitet af Livmarli hos målpopulationen. Agenturet havde også betænkeligheder vedrørende visse aspekter af fremstillingsprocessen og overholdelsen af god fremstillingspraksis.

Derfor var agenturet på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at fordelene ved Livmarli ikke opvejede risiciene.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at beslutningen om at trække ansøgningen tilbage skyldtes en ændring i virksomhedens forretnings- og reguleringsstrategier efter drøftelse med CHMP samt forventningen om, at yderligere data vil blive tilgængelige.

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske forsøg?

Virksomheden har til agenturet oplyst, at der ikke er nogen konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske forsøg med Livmarli.

Hvis du deltager i et klinisk forsøg og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.