



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/936358/2022
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.

Синдромът на Alagille е наследствено заболяване, при което жлъчката (течност, произвеждана в черния дроб, която помага за разграждането на мазнините) не може да се оттича правилно от черния дроб, което води до натрупване на жлъчна киселина в черния дроб и кръвта. Един от симптомите на това натрупване е холестатичен пруритус.

Синдромът на Alagille се счита за рядко заболяване и Livmarli е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 18 декември 2013 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите тук:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-13-1214>.

Livmarli съдържа активното вещество мараликсибат хлорид (maralixibat chloride).

Как се използва Livmarli?

Лечението с Livmarli трябва да бъде започнато и да се наблюдава от лекар с опит в лечението на чернодробни заболявания, например синдром на Alagille. Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание.

Livmarli се предлага под формата на разтвор за прием през устата. Дозата зависи от телесното тегло на пациента и се прилага веднъж дневно. Лечението започва с ниска доза, която лекарят ще увеличи след една седмица. 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 подобрене след 3 месеца.

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

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



Как действа Livmarli?

Активното вещество в Livmarli, мараликсібат хлорид, блокира действието на протеин, наречен апикален натриево-зависим транспортер на жлъчни киселини (ASBT), известен още като илеален транспортер на жлъчни киселини (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?

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 жлъчните киселини 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 лечение към плацебо, има 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.

Какви са рисковете, свързани с Livmarli?

Най-честите нежелани реакции при Livmarli (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) са диария и абдоминална болка (болка в корема).

За пълния списък на нежеланите реакции, съобщени при Livmarli, вижте листовката.

Защо Livmarli е разрешен за употреба в ЕС?

Alagille е животозастрашаващо заболяване. Към момента на разрешаването на Livmarli не е имало друго одобрено лечение за това заболяване. Тъй като това е много рядко заболяване, проучванията са малки и с редица ограничения, но е установено, че Livmarli е ефективен за намаляване на количеството жлъчни киселини в кръвта на пациенти със заболяването и за подобряване на симптомите, свързани с това, например интензивен сърбеж. 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 всякаква нова информация относно безопасността и ефикасността на Livmarli. Освен това фирмата ще проведе и предостави резултатите от проучване за допълнително характеризиране на дългосрочната безопасност и ефикасност на лекарството за лечение на холестатичен пруритус.

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

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Livmarli, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени 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:

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