



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/936363/2022
EMA/H/C/005857

Livmarli (cloruro de maralixibat)

Información general sobre Livmarli y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Livmarli y para qué se utiliza?

Livmarli es un medicamento que se utiliza para el tratamiento de pacientes a partir de 2 meses de edad con prurito colestático (picor intenso debido a la acumulación de bilis) causado por el síndrome de Alagille.

El síndrome de Alagille es una enfermedad hereditaria en la que la bilis (un líquido producido en el hígado que ayuda a descomponer las grasas) no puede drenarse adecuadamente del hígado, lo que da lugar a una acumulación de ácidos biliares en el hígado y la sangre. Uno de los síntomas de esta acumulación es el prurito colestático.

El síndrome de Alagille es «raro», y Livmarli fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 18 de diciembre de 2013. Puede encontrar información adicional sobre las designaciones como medicamento huérfano en:

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

Livmarli contiene el principio activo cloruro de maralixibat.

¿Cómo se usa Livmarli?

El tratamiento con Livmarli debe iniciarlo y supervisarlo un médico con experiencia en el tratamiento de enfermedades hepáticas como el síndrome de Alagille. Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica.

Livmarli se presenta en una solución para administración por vía oral. La dosis depende del peso corporal del paciente y se administra una vez al día. El tratamiento se inicia con una dosis baja que el médico aumentará al cabo de una semana. En caso de que el paciente desarrolle ciertos efectos adversos, puede ser necesario reducir la dosis o interrumpir el tratamiento. En el caso de los pacientes que no muestren una mejoría al cabo de 3 meses, el médico debe considerar un tratamiento alternativo.

Para mayor información sobre el uso de Livmarli, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

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



¿Cómo actúa Livmarli?

El principio activo de Livmarli, el cloruro de maralixibat, bloquea la acción de una proteína denominada transportador apical de ácidos biliares dependientes del sodio (ASBT), también conocido como transportador ileal de ácidos biliares (IBAT), que ayuda a transportar los ácidos biliares del intestino a la sangre y el hígado. Al bloquear la ASBT, el medicamento reduce la cantidad de ácidos biliares que se transporta desde el intestino al hígado. Esto hace que se elimine del organismo un exceso de ácidos biliares, con lo que se reduce la acumulación de ácidos biliares y se alivian los síntomas del prurito colestático.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Livmarli en los estudios realizados?

Los beneficios de Livmarli se evaluaron en dos estudios principales. En el primer estudio, 31 niños de 1 a 18 años con síndrome de Alagille fueron tratados con Livmarli durante 18 semanas, tras lo cual se evaluó su respuesta al tratamiento.

Los 29 pacientes que presentaron una disminución de los niveles de ácidos biliares en sangre de al menos el 50 % tras el tratamiento inicial de 18 semanas con el medicamento se asignaron posteriormente a recibir un placebo (tratamiento ficticio) o Livmarli durante 4 semanas. Los resultados demostraron que los pacientes que continuaron el tratamiento con Livmarli durante 4 semanas seguían presentando una reducción de los niveles de ácidos biliares, mientras que los que cambiaron el tratamiento a placebo experimentaron aumentos significativos. Al cabo de este período de 4 semanas, todos los pacientes recibieron de nuevo Livmarli. Cuando los pacientes que tomaron placebo reanudaron el tratamiento con Livmarli, sus niveles en sangre se redujeron a los niveles observados anteriormente con Livmarli. El estudio también demostró que el tratamiento con Livmarli mejoró los síntomas de picor asociados a la enfermedad.

En el segundo estudio, en el que participaron 8 niños de entre 2 meses y menos de 1 año, Livmarli no se comparó con ningún otro tratamiento ni con un placebo. Los resultados del estudio demostraron que, al cabo de 13 semanas de tratamiento, los pacientes presentaban, por término medio, una mejoría de los síntomas de picor asociados a la enfermedad y una reducción del nivel de ácidos biliares en sangre.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Livmarli?

Los efectos adversos más frecuentes de Livmarli (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son diarrea y dolor abdominal.

La lista completa de efectos adversos notificados de Livmarli se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Livmarli en la UE?

Alagille es una enfermedad potencialmente mortal; en el momento de la autorización de Livmarli, no había ningún otro tratamiento aprobado para esta enfermedad. Dado que se trata de una enfermedad muy rara, los estudios fueron pequeños y limitados, pero Livmarli demostró ser eficaz para reducir la cantidad de ácidos biliares en sangre de los pacientes con la enfermedad y mejorar los síntomas relacionados, como el picor intenso. Aunque los datos sobre la seguridad de Livmarli son limitados y es necesario recopilar más datos, los efectos adversos observados hasta la fecha se consideran aceptables. Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Livmarli son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE.

Livmarli se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Livmarli debido a la rareza de la enfermedad. La Agencia Europea

de Medicamentos (EMA) revisará anualmente la información nueva que esté disponible y actualizará esta información general cuando sea necesario.

¿Qué información falta todavía sobre Livmarli?

Dado que Livmarli ha sido autorizado en circunstancias excepcionales, la compañía que lo comercializa proporcionará actualizaciones anuales sobre cualquier nueva información relativa a la seguridad y la eficacia de Livmarli. Además, la compañía llevará a cabo y presentará los resultados de un estudio para caracterizar mejor la seguridad y la eficacia a largo plazo del medicamento para el tratamiento del prurito colestático.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Livmarli?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Livmarli se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Livmarli se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados con Livmarli se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Livmarli

Puede encontrar información adicional sobre Livmarli en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/livmarli