



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/936365/2022
EMA/H/C/005857

Livmarli (maraliksibaattikloridia)

Yleistiedot Livmarlista sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Livmarli on ja mihin sitä käytetään?

Livmarli on lääke, jolla hoidetaan vähintään kahden kuukauden ikäisiä potilaita, joilla esiintyy Alagillen oireyhtymästä johtuvaa kolestaattista kutinaa (sapen kertymisen aiheuttama voimakas kutina).

Alagillen oireyhtymä on perinnöllinen sairaus, jossa sappi (maksan tuottama neste, joka auttaa pilkkomaan rasvoja) ei pääse poistumaan maksasta kunnolla, jolloin sappihappo kertyy maksaan ja vereen. Yksi sapen kertymisen oireista on kolestaattinen kutina.

Alagillen oireyhtymä on harvinainen sairaus, ja Livmarli nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 18. joulukuuta 2013. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-13-1214>.

Livmarlin vaikuttava aine on maraliksibaattikloridia.

Miten Livmarli-valmistetta käytetään?

Livmarli-hoidon saa aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta maksasairauksien kuten Alagillen oireyhtymän hoidosta, ja hänen tulee myös valvoa hoitoa. Valmiste on reseptilääke.

Livmarlia on saatavana suun kautta otettavana liuoksena. Annos määräytyy potilaan painon mukaan, ja se annetaan kerran vuorokaudessa. Hoito aloitetaan pienellä annoksella, jota lääkäri suurentaa viikon kuluttua. Jos potilaalle kehittyy tiettyjä haittavaikutuksia, annosta voidaan joutua pienentämään tai hoito keskeyttämään. Jos potilaan tila ei parane kolmen kuukauden kuluessa, lääkärin on harkittava vaihtoehtoisia hoitoa.

Lisätietoja Livmarlin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Livmarli vaikuttaa?

Livmarlin vaikuttava aine maraliksibaattikloridia estää apikaalisen natriumriippuvaisen sappisuolojen kuljettajaproteiinin (ASBT, tunnetaan myös nimellä sykkyräsuolen sappihappojen kuljettajaproteiini eli IBAT) toiminnan. Tämä proteiini auttaa sappisuolojen (sappihappoja) kuljetuksessa suolistosta takaisin vereen ja maksaan. Estämällä ASBT-proteiinin toimintaa lääke vähentää suolistosta maksaan siirtyvän sappihapon määrää. Tämän seurauksena ylimääräinen sappihappo poistuu elimistöstä, jolloin sappihapon kertyminen vähenee ja kolestaattisen kutinan oireet lievittyvät.

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



Mitä hyötyä Livmarlista on havaittu tutkimuksissa?

Livmarlin hyötyjä arvioitiin kahdessa päätutkimuksessa. Ensimmäisessä tutkimuksessa 31:tä 1–18-vuotiasta lasta, jotka sairastivat Alagillen oireyhtymää, hoidettiin Livmarlilla 18 viikon ajan, minkä jälkeen heidän hoitovastettaan arvioitiin.

Niille 29 potilaalle, joiden veren sappihappopitoisuus pieneni vähintään 50 prosenttia ensimmäisen 18 viikkoa kestäneen hoidon jälkeen, määrättiin myöhemmin joko lumelääkettä tai Livmarlia neljän viikon ajaksi. Tulokset osoittivat, että sappihappopitoisuus pieneni edelleen potilailla, jotka jatkoivat Livmarlihoitoa neljän viikon ajan, kun taas lumelääkettä saaneilla se suureni merkittävästi. Tämän neljän viikon jakson jälkeen kaikki potilaat saivat Livmarlia uudelleen. Kun lumelääkettä saaneet potilaat aloittivat Livmarli-hoidon uudelleen, heidän veriarvonsa laskivat samalle tasolle kuin aiemmin Livmarlilla hoidettaessa. Tutkimus osoitti myös, että Livmarli-hoito paransi sairauteen liittyviä kutinaoireita.

Toisessa tutkimuksessa, johon osallistui kahdeksan 2–11 kuukauden ikäistä lasta, Livmarlia ei verrattu mihinkään muuhun hoitoon tai lumelääkkeeseen. Tutkimuksen tulokset osoittivat, että 13 hoitoviikon jälkeen potilailla oli keskimäärin vähemmän sairauden aiheuttamia kutinaoireita ja matalampi veren sappihappopitoisuus.

Mitä riskejä Livmarli-valmisteseen liittyy?

Livmarlin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat ripuli ja vatsakipu.

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Livmarlin haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Livmarli on hyväksytty EU:ssa?

Alagillen oireyhtymä on hengenvaarallinen sairaus. Livmarlin myyntiluvan myöntämisen aikaan siihen ei ollut muuta hyväksyttyä hoitoa. Koska Livmarli on hyvin harvinainen sairaus, tutkimukset olivat pieniä ja niihin liittyi rajoituksia. Valmisteen osoitettiin kuitenkin vähentävän tehokkaasti sappihapon määrää potilaiden veressä ja lievittävän sairauteen liittyviä oireita, kuten voimakasta kutinaa. Vaikka Livmarlin turvallisuutta koskevia tietoja on vähän ja lisätietoja on vielä kerättävä, tähän mennessä havaittujen haittavaikutusten katsotaan olevan hyväksyttäviä. Siksi Euroopan lääkevirasto katsoi, että Livmarlin hyödyt ovat sen riskejä suuremmat ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Livmarli on saanut myyntiluvan ns. poikkeusolosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Livmarlista ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja lääkevalmisteesta odotetaan vielä saatavan?

Koska Livmarli on saanut myyntiluvan poikkeusolosuhteissa, sitä markkinoiva yhtiö toimittaa vuosittain päivitettyt tiedot kaikista uusista tiedoista, jotka koskevat Livmarlin turvallisuutta ja tehoa. Lisäksi yhtiö tekee valmisteen turvallisuutta ja tehoa koskevan tutkimuksen ja toimittaa sen tulokset, jotta lääkkeen pitkäaikaista turvallisuutta ja tehoa kolestaattisen kutinan hoidossa voidaan luonnehtia tarkemmin.

Miten voidaan varmistaa Livmarlin turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Livmarlin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Livmarlin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Livmarlista ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muuta tietoa Livmarli-valmisteesta

Lisää tietoa Livmarlista on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/livmarli