



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/936366/2022
EMA/H/C/005857

Livmarli (chlorure de maralixibat)

Aperçu de Livmarli et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Livmarli et dans quel cas est-il utilisé?

Livmarli est un médicament utilisé dans le traitement des patients âgés de deux mois et plus atteints de prurit cholestatique (démangeaisons intenses dues à une accumulation de bile) causé par le syndrome d'Alagille.

Le syndrome d'Alagille est une maladie héréditaire dans laquelle la bile (un liquide produit dans le foie qui aide à dégrader les graisses) ne peut pas s'écouler correctement du foie, ce qui entraîne une accumulation d'acides biliaires dans le foie et le sang. L'un des symptômes de cette accumulation est le prurit cholestatique.

Le syndrome d'Alagille est rare et Livmarli a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 18 décembre 2013. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après : <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-13-1214>.

Livmarli contient la substance active chlorure de maralixibat.

Comment Livmarli est-il utilisé?

Le traitement par Livmarli doit être instauré et surveillé par un médecin expérimenté dans le traitement des maladies hépatiques telles que le syndrome d'Alagille. Le médicament n'est délivré que sur ordonnance.

Livmarli est disponible sous la forme d'une solution à prendre par voie orale. La dose dépend du poids corporel du patient et est administrée une fois par jour. Le traitement commence par une faible dose, que le médecin augmentera au bout d'une semaine. Si certains effets indésirables se manifestent chez le patient, il se peut que la dose doive être réduite ou le traitement interrompu. Pour les patients qui ne présentent pas d'amélioration au bout de 3 mois, le médecin doit envisager un autre traitement.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Livmarli, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

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



Comment Livmarli agit-il?

La substance active de Livmarli, le chlorure de maralixibat, bloque l'action d'une protéine appelée «transporteur apical des acides biliaires dépendant du sodium» (ASBT), également connue sous le nom de transporteur iléal des acides biliaires (IBAT), qui contribue à renvoyer les acides biliaires de l'intestin vers le sang et le foie. En bloquant l'ASBT, le médicament réduit la quantité d'acides biliaires acheminée depuis l'intestin dans le foie. Cela entraîne l'élimination de l'excès d'acides biliaires de l'organisme, réduisant ainsi l'accumulation d'acides biliaires et soulageant les symptômes du prurit cholestatique.

Quels sont les bénéfices de Livmarli démontrés au cours des études?

Les bénéfices de Livmarli ont été évalués dans le cadre de deux études principales. Dans la première étude, 31 enfants âgés de 1 à 18 ans atteints du syndrome d'Alagille ont été traités par Livmarli pendant 18 semaines, après quoi leur réponse au traitement a été évaluée.

Les 29 patients qui présentaient une diminution des taux d'acides biliaires dans le sang d'au moins 50 % après le traitement initial de 18 semaines par le médicament ont ensuite reçu soit un placebo (traitement fictif), soit Livmarli pendant 4 semaines. Les résultats ont montré que les patients qui ont poursuivi le traitement par Livmarli pendant 4 semaines présentaient toujours une réduction du taux d'acides biliaires, tandis que ceux qui ont changé de traitement pour prendre un placebo présentaient des augmentations significatives. Après cette période de quatre semaines, tous les patients ont de nouveau reçu Livmarli. Lorsque les patients sous placebo ont repris le traitement par Livmarli, leurs taux sanguins ont diminué pour atteindre les niveaux observés précédemment avec Livmarli. L'étude a également montré que le traitement par Livmarli atténuait les symptômes de démangeaison associés à la maladie.

Dans la deuxième étude, qui portait sur huit enfants âgés de deux mois à moins d'un an, Livmarli n'a été comparé à aucun autre traitement ni à aucun placebo. Les résultats de l'étude ont montré qu'après 13 semaines de traitement, les patients présentaient, en moyenne, une amélioration en ce qui concerne les symptômes de démangeaison associés à la maladie et une réduction du taux d'acides biliaires dans le sang.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Livmarli?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Livmarli (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont la diarrhée et les douleurs abdominales (maux de ventre).

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Livmarli, voir la notice.

Pourquoi Livmarli est-il autorisé dans l'UE?

Le syndrome d'Alagille est une maladie qui engage le pronostic vital; aucun autre traitement approuvé pour cette maladie n'était disponible au moment où Livmarli a été autorisé. Cette maladie étant très rare, les études étaient limitées et soumises à des restrictions, mais Livmarli s'est avéré efficace pour réduire la quantité d'acides biliaires dans le sang des patients atteints de la maladie et pour atténuer les symptômes liés à celle-ci, tels que des démangeaisons intenses. Bien que les données concernant la sécurité de Livmarli soient restreintes et que des données supplémentaires doivent être recueillies, les effets indésirables observés à ce jour sont considérés comme acceptables. Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Livmarli sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Livmarli. En effet, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Livmarli en raison de la rareté de la maladie. Chaque année, l'Agence européenne des médicaments examinera toute nouvelle information disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent aperçu.

Quelles informations sont encore en attente au sujet de Livmarli?

Une autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles ayant été délivrée pour Livmarli, la société qui commercialise Livmarli fournira des mises à jour annuelles sur toute nouvelle information concernant la sécurité et l'efficacité de ce médicament. En outre, la société réalisera et présentera les résultats d'une étude visant à mieux préciser la sécurité et l'efficacité à long terme du médicament pour le traitement du prurit cholestatique.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Livmarli?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Livmarli ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Livmarli sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés avec Livmarli sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Livmarli:

Des informations sur Livmarli sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/livmarli