



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/936368/2022
EMA/H/C/005857

Livmarli (maralixibat-klorid)

A Livmarli-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Livmarli és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Livmarli-t az Alagille-szindróma által okozott kolesztatikus pruritiszben (a epepangás következtében fellépő intenzív viszketés) szenvedő, 2 hónaposnál idősebb betegek kezelésére alkalmazzák.

Az Alagille-szindróma egy örökletes betegség, amely során az epe (a májban termelődő folyadék, amely segít lebontani a zsírokat) nem tud megfelelően kiürülni a májból, ami az epesavak felhalmozódását eredményezi a májban és a vérben. Ennek a felhalmozódásnak egyik tünete a kolesztatikus pruritisz.

Mivel az Alagille-szindróma „ritkának” minősül, ezért a Livmarli-t 2013. december 18-án „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található:

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

A Livmarli hatóanyaga a maralixibat-klorid.

Hogyan kell alkalmazni a Livmarli-t?

A Livmarli-kezelést a májbetegségek, így az Alagille-szindróma kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie. A gyógyszer csak receptre kapható.

A Livmarli belsőleges oldat formájában kapható. Az adag a beteg testtömegétől függ, és naponta egyszer kell beadni. A kezelést alacsony dózissal kezdik meg, amelyet a kezelőorvos egy hét elteltével növelni fog. Ha a betegnél bizonyos mellékhatások jelentkeznek, előfordulhat, hogy az adagot csökkenteni kell, vagy a kezelést meg kell szakítani. Azoknál a betegeknél, akiknél 3 hónap elteltével nem tapasztalható javulás, a kezelőorvosnak alternatív kezelést kell fontolóra vennie.

A Livmarli alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



Hogyan fejti ki hatását a Livmarli?

A Livmarli hatóanyaga, a maralixibat-klorid gátolja az apikális nátriumfüggő epesav-transzporter (ASBT), más néven ileális epesav-transzporter (IBAT) nevű fehérje működését, amely elősegíti az epesavak visszajutását a bélrendszerből a vérbe és a májba. Az ASBT gátlása révén a gyógyszer csökkenti a belekből a májba szállított epesavak mennyiségét. Ennek következtében a felesleges epesav távozik a szervezetből, ezáltal csökkentve az epesav felhalmozódását és enyhítve a kolesztatikus pruritisz tüneteit.

Milyen előnyei voltak a Livmarli alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Livmarli előnyeit két fő vizsgálatban értékelték. Az első vizsgálatban 31, 1–18 év közötti, Alagille-szindrómában szenvedő gyermeket kezeltek Livmarli-val 18 héten keresztül, majd értékelték a kezelésre adott reakcióikat.

Az a 29 beteg, akiknél a gyógyszerrel végzett kezdeti 18 hetes kezelést követően a vér epesavszintje legalább 50%-kal csökkent, a későbbiekben placebót (hatóanyag nélküli kezelés) vagy Livmarli-t kapott 4 héten keresztül. Az eredmények azt mutatták, hogy azoknál a betegeknél, akik 4 hétig a Livmarli-kezelést folytatták, továbbra is csökkent az epesavszint, míg azoknál, akiket placebóra állítottak át, jelentős növekedés volt mérhető. Ezt a 4 hetes időszakot követően minden beteg ismét Livmarli-t kapott. Amikor az addig placebóval kezelt betegek újrakezdték a Livmarli-kezelést, a vérben mért epesavszint a Livmarli-kezelés esetében megfigyelt korábbi szintre csökkent. A vizsgálat azt is kimutatta, hogy a Livmarli-kezelés enyhítette a betegséggel összefüggő viszketés tüneteit.

A második vizsgálatban, amelyben 8, 2 hónapos és 1 évesnél fiatalabb kor közötti gyermek vett részt, a Livmarli-t nem hasonlították össze más kezeléssel vagy placebóval. A vizsgálat eredményei azt mutatták, hogy 13 hetes kezelést követően a betegeknél a betegséggel összefüggő viszketés tünetei átlagosan javultak, és a vérükben csökkent az epesavak szintje.

Milyen kockázatokkal jár a Livmarli alkalmazása?

A Livmarli leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a hasmenés és a hasi fájdalom.

A Livmarli alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Livmarli forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Alagille-szindróma egy életveszélyes betegség; a Livmarli engedélyezésekor erre a betegségre nem létezett más engedélyezett kezelés. Mivel ez egy nagyon ritka betegség, a vizsgálatok kis méretűek és korlátozott mértékűek voltak, de a Livmarli hatásosnak bizonyult a betegek vérében mért epesav mennyiségének csökkentésében és az ezzel kapcsolatos tünetek, így az intenzív viszketés enyhítésében is. Bár a Livmarli biztonságosságára vonatkozó adatok korlátozottak, és további adatokat kell gyűjteni, az eddig tapasztalt mellékhatások elfogadhatónak tekinthetők. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Livmarli alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

A Livmarli forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Livmarli-ról. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen információk várhatók még a Livmarli-val kapcsolatban?

Mivel a Livmarli forgalomba hozatalát kivételes körülmények között engedélyezték, a Livmarli-t forgalmazó vállalat minden évben naprakész tájékoztatást fog nyújtani a Livmarli biztonságosságával és hatásosságával kapcsolatos új információkról. Ezenfelül a vállalat egy újabb vizsgálatot fog végezni, és be fogja nyújtani annak eredményeit, hogy részletesebben igazolja a koleszterikus pruritisz kezelésére szolgáló gyógyszer hosszú távú biztonságosságát és hatásosságát.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Livmarli biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Livmarli biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Livmarli alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Livmarli alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Livmarli-val kapcsolatos egyéb információ

A Livmarli-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/livmarli