



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/936370/2022  
EMA/H/C/005857

## Livmarli (maraliksibato chlorido)

Livmarli apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

### Kas yra Livmarli ir kam jis vartojamas?

Livmarli – tai vaistas, kuriuo gydomi 2 mėnesių ir vyresni pacientai, sergantys Alaželio (*Alagille*) sindromo sukeltu cholestaziniu niežėjimu (tulžies kaupimosi sukeltas stiprus niežėjimas).

Alaželio sindromas – tai paveldima liga, kuria sergant tulžis (kepenyse gaminamas skystis, kuris padeda suskaidyti riebalus) negali tinkamai ištekėti iš kepenų, ir dėl to tulžies rūgštis kaupiasi kepenyse ir kraujyje. Vienas iš šio kaupimosi simptomų yra cholestazinis niežėjimas.

Alaželio sindromas laikomas reta liga, todėl 2013 m. gruodžio 18 d. Livmarli buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-13-1214>.

Livmarli sudėtyje yra veikliosios medžiagos maraliksibato chlorido.

### Kaip vartoti Livmarli?

Gydymą Livmarli turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis kepenų ligų, pvz., Alaželio sindromo, gydymo patirties. Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.

Gaminamas Livmarli geriamasis tirpalas. Vaisto dozė priklauso nuo paciento kūno svorio ir vartojama kartą per parą. Gydymas pradedamas nuo nedidelės dozės, kurią gydytojas po savaitės padidina. Jeigu pacientui pasireiškia tam tikras šalutinis poveikis, vaisto dozę gali tekti sumažinti arba gydymą nutraukti. Jei per 3 mėnesius paciento būklė nepagerėja, gydytojas turėtų apsvarstyti galimybę skirti gydymą kitais vaistais.

Daugiau informacijos apie Livmarli vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

### Kaip veikia Livmarli?

Livmarli veiklioji medžiaga maraliksibato chlorido slopina baltymo, vadinamo apikaliniu nuo natrio priklausomu tulžies rūgščių nešikliu (ASBT), dar vadinamo klubinės žarnos tulžies rūgščių nešikliu (IBAT), kuris padeda tulžies rūgštis iš žarnyno pernešti atgal į kraują ir kepenis, veikimą. Slopindamas ASBT, šis vaistas sumažina iš žarnyno į kepenis pernešamos tulžies rūgšties kiekį. Taip tulžies rūgštis

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



perteklius pašalinamas iš organizmo, sumažėja tulžies rūgšties kaupimasis ir palengvinami cholestazinio niežėjimo simptomai.

## **Kokia Livmarli nauda nustatyta tyrimų metu?**

Livmarli nauda buvo vertinama atliekant du pagrindinius tyrimus. Atliekant pirmąjį tyrimą, 31 vaikas nuo 1 iki 18 metų, kuriems nustatytas Alaželio sindromas, 18 savaičių buvo gydomi Livmarli; po to buvo vertinamas jų atsakas į gydymą.

29 pacientams, kurių tulžies rūgščių kiekis kraujyje po pirminio 18 savaičių gydymo šiuo vaistu sumažėjo bent 50 proc., vėliau 4 savaites buvo paskirtas placebo (preparatas be veikliosios medžiagos) arba Livmarli. Iš rezultatų buvo matyti, kad pacientų, kurie 4 savaites tęsė gydymą Livmarli, tulžies rūgšties kiekis išliko sumažėjęs, o pacientų, kurie pradėti gydyti placebo, kiekis smarkiai padidėjo. Po šio 4 savaičių laikotarpio visi pacientai vėl vartojo Livmarli. Placebą vartojusiems pacientams vėl skyrus Livmarli, jų kiekis kraujyje sumažėjo iki ankstesnio lygio vartojant Livmarli. Tyrime taip pat nustatyta, kad, vartojant Livmarli, su liga susiję niežėjimo simptomai palengvėjo.

Atliekant antrąjį tyrimą su 8 vaikais nuo 2 mėnesių iki mažiau nei 1 metų, Livmarli nebuvo lyginamas su jokių kitu vaistu ar placebo. Tyrimo rezultatai parodė, kad po 13 gydymo savaičių su liga siejamo niežėjimo simptomai, apskritai, palengvėjo ir tulžies rūgščių kiekis kraujyje sumažėjo.

## **Kokia rizika susijusi su Livmarli vartojimu?**

Dažniausias Livmarli šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra viduriavimas ir pilvo skausmas.

Išsamų visų Livmarli šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

## **Kodėl Livmarli buvo registruotas ES?**

Alaželio sindromas yra gyvybei pavojinga liga; Livmarli registracijos metu nebuvo patvirtinta jokie kito vaisto šiai ligai gydyti. Kadangi ši liga yra labai reta, atlikti nedideli ir riboti tyrimai, tačiau įrodyta, kad Livmarli veiksmingas siekiant sumažinti tulžies rūgšties kiekį šia liga sergančių pacientų kraujyje ir palengvinti su tuo susijusius simptomus, pvz., stiprų niežėjimą. Nors duomenų apie Livmarli saugumą yra nedaug ir reikia surinkti daugiau duomenų, laikomasi nuomonės, kad šiuo metu nustatytas šalutinis poveikis yra priimtinas. Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Livmarli nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Livmarli registruotas išimtinėmis sąlygomis, nes dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie jį. Europos vaistų agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią santrauką.

## **Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Livmarli?**

Kadangi Livmarli registruotas išimtinėmis sąlygomis, Livmarli prekiaujanti bendrovė kasmet teiks naujausią informaciją apie Livmarli saugumą ir veiksmingumą. Be to, bendrovė atliks tyrimą, kuriuo sieks išsamiau ištirti ilgalaikį vaisto saugumą ir veiksmingumą gydant cholestazinį niežėjimą, ir pateiks jo rezultatus.

## **Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Livmarli vartojimą?**

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Livmarli vartojimo rekomendacijos bei atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Livmarli vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Livmarli šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

## **Kita informacija apie Livmarli**

Daugiau informacijos apie Livmarli rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/livmarli](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/livmarli)