



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/936371/2022
EMA/H/C/005857

Livmarli (maraliksibata hlorīdu)

Livmarli pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Livmarli* un kāpēc tās lieto?

Livmarli ir zāles, ko lieto, lai ārstētu pacientus no divu mēnešu vecuma ar holestātisku prurītu (smagu niezi, ko izraisa žults uzkrāšanās), ko izraisījis Aladžila sindroms.

Aladžila sindroms ir iedzimta slimība, kuras gadījumā žults (šķidrums, kas veidojas aknās un palīdz noārdīt taukus) nevar tikt pilnvērtīgi izvadīts no aknām, izraisot žultsskābes uzkrāšanos aknās un asinīs. Viens no šīs uzkrāšanās simptomiem ir holestātisks prurīts.

Aladžila sindroms ir "reta" slimība, un 2013. gada 18. decembrī *Livmarli* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-13-1214>.

Livmarli satur aktīvo vielu maraliksibata hlorīdu.

Kā lieto *Livmarli*?

Ārstēšana ar *Livmarli* ir jāsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi aknu slimību, piemēram, Aladžila sindroma, ārstēšanā. Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Livmarli ir pieejamas kā šķidrums perorālai lietošanai. Deva ir atkarīga no pacienta ķermeņa masas un to lieto vienreiz dienā. Ārstēšanu sāk ar mazu devu, ko ārsts palielinās pēc vienas nedēļas. Ja pacientam rodas noteiktas blakusparādības, deva var būt jāsamazina vai jāpārtrauc ārstēšana. Pacienti, kuriem pēc trim mēnešiem nenovēro uzlabojumu, ārstam jāapsver alternatīva ārstēšana.

Papildu informāciju par *Livmarli* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Livmarli* darbojas?

Livmarli aktīvā viela maraliksibata hlorīdu bloķē darbību proteīnam, ko dēvē par apskābes no nātrija atkarīgo žultsskābju transportvielu (*ASBT*), ko dēvē arī par ileālās žultsskābes transportvielu (*IBAT*), kas palīdz transportēt žultsskābes no zarnām atpakaļ asinīs un aknās. Bloķējot *ASBT*, zāles samazina žultsskābes daudzumu, kas tiek transportēts no zarnām uz aknām. Tā rezultātā no organisma tiek

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



izvadīta liekā žultsskābe, tādējādi mazinot žultsskābes uzkrāšanos un mazinot holestatiskā prurīta simptomus.

Kādi *Livmarli* ieguvumi atklāti pētījumos?

Livmarli ieguvumi tika novērtēti divos pamatpētījumos. Pirmajā pētījumā 31 bērnu vecumā no viena līdz 18 gadiem ar Aladžila sindromu ārstēja ar *Livmarli* 18 nedēļas, pēc tam novērtēja viņu atbildes reakciju uz ārstēšanu.

29 pacienti, kuriem pēc sākotnējās 18 nedēļu ārstēšanas ar šīm zālēm žultsskābju līmenis asinīs samazinājās par vismaz 50 %, pēc tam tika nozīmēti saņemt vai nu placebo (fiktīvu ārstēšanu), vai *Livmarli* četras nedēļas. Rezultāti liecināja, ka pacientiem, kuri turpināja ārstēšanu ar *Livmarli* četras nedēļas, joprojām žultsskābes līmenis samazinājās, bet pacientiem, kuri nomainīja terapiju uz placebo, bija vērojama ievērojama paaugstināšanās. Pēc šī četru nedēļu perioda visi pacienti atkal saņēma *Livmarli*. Kad pacienti, kuri lietoja placebo, atsāka ārstēšanu ar *Livmarli*, viņu līmenis asinīs samazinājās līdz līmenim, kāds iepriekš tika novērots, lietojot *Livmarli*. Turklāt pētījumā tika pierādīts, ka ārstēšana ar *Livmarli* uzlabo ar slimību saistītas niezes simptomus.

Otrajā pētījumā, iesaistot astoņus bērnus vecumā no diviem mēnešiem līdz mazāk nekā vienam gadam, *Livmarli* netika salīdzinātas ar citām zālēm vai placebo. Pētījuma rezultāti liecināja, ka pēc 13 nedēļu ilgas ārstēšanas pacientiem vidēji bija ar slimību saistītas niezes simptomu uzlabošanās un žultsskābju līmeņa samazināšanās asinīs.

Kāds risks pastāv, lietojot *Livmarli*?

Visbiežākās *Livmarli* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir caureja un sāpes vēderā.

Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Livmarli* ir reģistrētas ES?

Aladžila sindroms ir dzīvībai bīstama slimība. *Livmarli* reģistrācijas brīdī nebija citu apstiprinātu zāļu šīs slimības ārstēšanai. Tā kā šī ir ļoti reta slimība, pētījumi bija nelieli un ar ierobežojumiem, bet tika pierādīts, ka *Livmarli* efektīvi samazina žultsskābes daudzumu asinīs pacientiem ar šo slimību un uzlabo ar to saistītos simptomus, piemēram, spēcīgu niezi. Lai gan dati par *Livmarli* drošumu ir ierobežoti un ir jāiegūst papildu dati, līdz šim novērotās blakusparādības tiek uzskatītas par pieņemamām. Tāpēc Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Livmarli*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Livmarli ir reģistrētas "izņēmuma kārtā". Tas nozīmē, ka sakarā ar šīs slimības retumu nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par *Livmarli*. Eiropas Zāļu aģentūra katru gadu pārbaudīs visu jauniegūto informāciju un vajadzības gadījumā atjauninās šo kopsavilkumu.

Kāda informācija par *Livmarli* vēl ir sagaidāma?

Tā kā *Livmarli* ir reģistrētas izņēmuma kārtā, uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Livmarli*, katru gadu sniegs jaunāko informāciju par *Livmarli* drošumu un efektivitāti. Turklāt uzņēmums veiks pētījumu un iesniegs tā rezultātus, lai sīkāk raksturotu zāļu ilgtermiņa drošumu un efektivitāti holestatiskā prurīta ārstēšanā.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Livmarli* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Livmarli* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Livmarli* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Livmarli* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Livmarli*

Sīkāka informācija par *Livmarli* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/livmarli