



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/936375/2022
EMA/H/C/005857

Livmarli (cloreto de maralixibato)

Um resumo sobre Livmarli e porque está autorizado na UE

O que é Livmarli e para que é utilizado?

Livmarli é um medicamento utilizado no tratamento de doentes com idade igual ou superior a 2 meses com prurido colestático (comichão intensa devido a uma acumulação de bÍlis) causado pela síndrome de Alagille.

A síndrome de Alagille é uma doença hereditária na qual a bÍlis (um fluido produzido no fÍgado que ajuda a decompor as gorduras) não consegue drenar adequadamente do fÍgado, resultando numa acumulação de ácido biliar no fÍgado e no sangue. Um dos sintomas desta acumulação é o prurido colestático.

A síndrome de Alagille é uma doença rara, e Livmarli foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 18 de dezembro de 2013. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-13-1214>

Livmarli contém a substância ativa cloreto de maralixibato.

Como se utiliza Livmarli?

O tratamento com Livmarli deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento de doenças do fÍgado, como a síndrome de Alagille. O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica.

Livmarli está disponível na forma de solução a tomar por via oral. A dose depende do peso corporal do doente e é administrada uma vez por dia. O tratamento é iniciado com uma dose baixa, que o médico irá aumentar após uma semana. Caso o doente desenvolva determinados efeitos secundários, a dose pode ter de ser reduzida ou o tratamento interrompido. Para os doentes que não apresentem uma melhoria após 3 meses, o médico deve considerar um tratamento alternativo.

Para mais informações sobre a utilização de Livmarli, leia o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

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



Como funciona Livmarli?

A substância ativa de Livmarli, o cloreto de maralixibato, bloqueia a ação de uma proteína denominada transportador de ácido biliar apical dependente do sódio (ASBT), também conhecida como transportador de ácido biliar ileal (IBAT), que ajuda a transportar os ácidos biliares do intestino de volta para o sangue e o fígado. Ao bloquear a ASBT, o medicamento reduz a quantidade de ácido biliar que é transportada do intestino para o fígado. Isto leva a que o excesso de ácido biliar seja removido do organismo, reduzindo assim a acumulação de ácido biliar e aliviando os sintomas do prurido colestático.

Quais os benefícios demonstrados por Livmarli durante os estudos?

Os benefícios de Livmarli foram avaliados em dois estudos principais. No primeiro estudo, 31 crianças com idades compreendidas entre os 1 e os 18 anos com síndrome de Alagille foram tratadas com Livmarli durante 18 semanas, após as quais a sua resposta ao tratamento foi avaliada.

Os 29 doentes que apresentaram uma diminuição dos níveis de ácidos biliares no sangue de, pelo menos, 50 % após o tratamento inicial de 18 semanas com o medicamento foram subsequentemente designados para receber um placebo (tratamento simulado) ou Livmarli durante 4 semanas. Os resultados mostraram que os doentes que continuaram o tratamento com Livmarli durante 4 semanas continuaram a apresentar uma redução do nível de ácido biliar, enquanto os que mudaram de tratamento para o placebo registaram aumentos significativos. Após este período de 4 semanas, todos os doentes receberam novamente Livmarli. Quando os doentes que receberam o placebo retomaram o tratamento com Livmarli, os seus níveis sanguíneos reduziram para os níveis anteriormente observados com Livmarli. O estudo demonstrou igualmente que o tratamento com Livmarli melhorou os sintomas de comichão associados à doença.

No segundo estudo, que incluiu 8 crianças com idades compreendidas entre os 2 meses e 1 ano de idade, Livmarli não foi comparado com qualquer outro tratamento ou placebo. Os resultados do estudo mostraram que, após 13 semanas de tratamento, os doentes apresentaram, em média, uma melhoria dos sintomas de comichão associada à doença e uma redução dos níveis de ácidos biliares no sangue.

Quais são os riscos associados a Livmarli?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Livmarli (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são diarreia e dor abdominal (dor de barriga).

Para a lista completa dos efeitos secundários e das restrições de utilização de Livmarli, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Livmarli autorizado na UE?

Alagille é uma doença potencialmente fatal; no momento da autorização de Livmarli, não existia qualquer outro tratamento aprovado para esta doença. Uma vez que se trata de uma doença muito rara, os estudos foram pequenos e sujeitos a limitações, mas Livmarli demonstrou ser eficaz na redução da quantidade de ácido biliar no sangue de doentes com a doença e na melhoria dos sintomas relacionados com esta, tais como comichão intensa. Embora os dados sobre a segurança de Livmarli sejam limitados e seja necessário recolher mais dados, os efeitos secundários observados até à data são considerados aceitáveis. A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Livmarli são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Livmarli foi autorizado em circunstâncias excecionais. Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre Livmarli devido à raridade da doença. A Agência Europeia de Medicamentos

procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

Que informação ainda se aguarda sobre Livmarli?

Dado que Livmarli foi autorizado em circunstâncias excepcionais, a empresa que comercializa Livmarli irá fornecer atualizações anuais de quaisquer novas informações relativas à segurança e eficácia de Livmarli. Além disso, a empresa irá realizar e apresentar os resultados de um estudo para caracterizar melhor a segurança e eficácia a longo prazo do medicamento para o tratamento do prurido colestático.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Livmarli?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Livmarli.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Livmarli são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Livmarli são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Livmarli

Mais informações sobre Livmarli podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/livmarli