



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/936376/2022
EMA/H/C/005857

Livmarli (clorură de maralixibat)

Prezentare generală a Livmarli și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Livmarli și pentru ce se utilizează?

Livmarli este un medicament utilizat pentru tratarea pacienților cu vârsta de cel puțin 2 luni, cu prurit colestatic (mâncărime intensă cauzată de acumularea de bilă) cauzat de sindromul Alagille.

Sindromul Alagille este o boală ereditară în care bila (un lichid produs în ficat, care ajută la descompunerea grăsimilor) nu poate fi drenată corespunzător de ficat, ducând la acumularea de acid biliar în ficat și sânge. Unul dintre simptomele acestei acumulări este pruritul colestatic.

Sindromul Alagille este rar, iar Livmarli a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 18 decembrie 2013. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite aici: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-13-1214>.

Livmarli conține substanța activă clorură de maralixibat.

Cum se utilizează Livmarli?

Tratamentul cu Livmarli trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul bolilor hepatice, cum este sindromul Alagille. Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală.

Livmarli este disponibil sub formă de soluție care se administrează pe cale orală. Doza depinde de greutatea pacientului și se administrează o dată pe zi. Tratamentul este inițiat la o doză mică, pe care medicul o va mări după o săptămână. În cazul în care pacientul are anumite reacții adverse, poate fi necesară reducerea dozei sau întreruperea tratamentului. În cazul pacienților la care boala nu s-a ameliorat după 3 luni, medicul trebuie să ia în considerare un tratament alternativ.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Livmarli, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Livmarli?

Substanța activă din Livmarli, clorură de maralixibat, blochează acțiunea unei proteine numite transportor apical de acid biliar dependent de sodiu (ASBT), numit și transportor ileal de acid biliar (IBAT), care ajută la transportul acizilor biliari din intestin înapoi în sânge și ficat. Prin blocarea ASBT,

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



medicamentul reduce cantitatea de acid biliar care este transportată din intestin în ficat. Acest lucru duce la eliminarea din organism a acidului biliar în exces, reducând astfel acumularea de acid biliar și ameliorând simptomele pruritului colestatic.

Ce beneficii a prezentat Livmarli pe parcursul studiilor?

Beneficiile Livmarli au fost evaluate în două studii principale. În primul studiu, 31 de copii cu vârsta între 1 și 18 ani cu sindrom Alagille au fost tratați cu Livmarli timp de 18 săptămâni, după care a fost evaluat răspunsul acestora la tratament.

Cei 29 de pacienți la care valorile acizilor biliari din sânge au scăzut cu cel puțin 50 % după tratamentul inițial de 18 săptămâni cu acest medicament au primit ulterior fie placebo (un preparat inactiv), fie Livmarli, timp de 4 săptămâni. Rezultatele au arătat că, la pacienții care au continuat tratamentul cu Livmarli timp de 4 săptămâni, concentrația de acid biliar a continuat să scadă, în timp ce la cei care au trecut pe tratament cu placebo a crescut semnificativ. După această perioadă de 4 săptămâni, toți pacienții au primit din nou Livmarli. Concentrația în sânge a pacienților care au luat placebo s-a redus la valorile observate anterior cu Livmarli după reluarea tratamentului cu acest medicament. Studiul a arătat, de asemenea, că tratamentul cu Livmarli a ameliorat simptomele de mâncărime asociate cu boala.

În al doilea studiu, care a cuprins 8 copii cu vârsta între 2 luni și mai puțin de 1 an, Livmarli nu a fost comparat cu niciun alt tratament sau placebo. După 13 săptămâni de tratament, rezultatele studiului au arătat ameliorarea simptomelor de mâncărime asociate cu boala și reducerea concentrației de acizi biliari în sânge la acești pacienți.

Care sunt riscurile asociate cu Livmarli?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Livmarli (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt diaree și dureri abdominale (de burtă).

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Livmarli, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Livmarli în UE?

Alagille este o boală care pune viața în pericol; la momentul autorizării Livmarli, nu exista niciun alt tratament aprobat pentru această boală. Deoarece este o boală foarte rară, studiile au fost mici și au avut limitări, însă Livmarli s-a dovedit eficace în reducerea cantității de acid biliar în sângele pacienților bolnavi și în ameliorarea simptomelor asociate bolii, cum ar fi mâncărimea intensă. Deși datele privind siguranța Livmarli sunt limitate și este necesar să se colecteze date suplimentare, reacțiile adverse observate până în prezent sunt considerate acceptabile. Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Livmarli sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Livmarli a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre Livmarli. În fiecare an, Agenția Europeană pentru Medicamente va analiza informațiile nou apărute, iar această prezentare generală va fi actualizată, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Livmarli?

Având în vedere că Livmarli a fost autorizat în condiții excepționale, compania care comercializează Livmarli va furniza actualizări anuale cu privire la orice informații noi referitoare la siguranța și eficacitatea Livmarli. În plus, compania va efectua un studiu și va prezenta rezultatele acestuia pentru

a caracteriza suplimentar siguranța și eficacitatea pe termen lung ale medicamentului pentru tratamentul pruritului.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Livmarli?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Livmarli, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Livmarli sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Livmarli sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Livmarli

Informații suplimentare cu privire la Livmarli sunt disponibile pe site-ul agenției:

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