



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/936378/2022
EMA/H/C/005857

Livmarli (maraliksibatijev klorid)

Pregled zdravila Livmarli in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Livmarli in za kaj se uporablja?

Livmarli je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje bolnikov, starejših od dveh mesecev, s holestatskim pruritisom (intenzivnim srbenjem zaradi kopičenja žolča), ki ga povzroča Alagillski sindrom.

Alagillski sindrom je dedna bolezen, pri kateri se žolč (tekočina, ki nastaja v jetrih in pomaga pri razgradnji maščob) ne odvaja ustrezno iz jeter, kar privede do kopičenja žolčne kisline v jetrih in krvi. Eden od simptomov tega kopičenja je holestatski pruritis.

Alagillski sindrom je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Livmarli 18. decembra 2013 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-13-1214>.

Zdravilo Livmarli vsebuje učinkovino maraliksibatijev klorid.

Kako se zdravilo Livmarli uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Livmarli mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolezni jeter, kot je Alagillski sindrom. Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept.

Zdravilo Livmarli je na voljo v obliki raztopine, ki se jemlje peroralno. Odmerek je odvisen od bolnikove telesne mase in se daje enkrat dnevno. Zdravljenje se začne z nizkim odmerkom, ki ga zdravnik po enem tednu poveča. Če se pri bolniku pojavijo določeni neželeni učinki, bo morda treba odmerek zmanjšati ali prekiniti zdravljenje. Pri bolnikih, pri katerih po treh mesecih ni opaziti izboljšanja, mora zdravnik razmisliti o alternativnem zdravljenju.

Za več informacij glede uporabe zdravila Livmarli glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Livmarli deluje?

Učinkovina v zdravilu Livmarli, maraliksibatijev klorid, zavira delovanje beljakovine, imenovane apikalni od natrija odvisni prenašalec žolčne kisline (ASBT), znan tudi kot prenašalec žolčnih kislin v ileumu (IBAT), ki pomaga pri transportu žolčnih kislin iz črevesja nazaj v kri in jetra. Zdravilo Livmarli z zaviranjem ASBT zmanjša količino žolčne kisline, ki se prenaša iz črevesja v jetra. To pripomore k

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



odstranjevanju odvečne žolčne kisline iz telesa, s čimer se zmanjša njeno kopičenje in ublažijo simptomi holestatskega pruritisa.

Kakšne koristi zdravila Livmarli so se pokazale v študijah?

Koristi zdravila Livmarli so bile ocenjene v dveh glavnih študijah. V prvi študiji so 31 otrok z Alagillskim sindromom, starih od enega do 18 let, 18 tednov zdravili z zdravilom Livmarli, nato pa ocenili njihov odziv na zdravljenje.

29 bolnikov, pri katerih so se po začetnem 18-tedenskem zdravljenju z zdravilom ravnih žolčnih kislin v krvi znižale za vsaj 50 %, je nato štiri tedne prejelo bodisi placebo (zdravilo brez učinkovine) bodisi zdravilo Livmarli. Rezultati so pokazali, da je bila pri bolnikih, ki so štiri tedne nadaljevali zdravljenje z zdravilom Livmarli, raven žolčne kisline še vedno znižana, pri bolnikih, ki so prešli na zdravljenje s placebom, pa se je znatno zvišala. Po tem štiritedenskem obdobju so vsi bolniki ponovno začeli prejemati zdravilo Livmarli. Ko so bolniki, ki so prejeli placebo, ponovno prešli na zdravljenje z zdravilom Livmarli, so se njihove ravni žolčne kisline v krvi znižale na ravni, ki so jih predhodno opazili pri zdravljenju z zdravilom Livmarli. Študija je prav tako pokazala, da je zdravljenje z zdravilom Livmarli izboljšalo simptome srbenja, povezane z boleznijo.

V drugi študiji, v katero je bilo vključenih osem otrok, starih od dva meseca do manj kot eno leto, zdravila Livmarli niso primerjali z nobenim drugim zdravilom ali placebom. Rezultati študije so pokazali, da so se po 13 tednih zdravljenja v povprečju izboljšali simptomi srbenja, povezani z boleznijo, in znižala raven žolčnih kislin v krvi.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Livmarli?

Najpogostejša neželena učinka zdravila Livmarli (ki se lahko pojavita pri več kot 1 od 10 bolnikov) sta driska in bolečine v trebuhu.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Livmarli glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Livmarli odobreno v EU?

Alagillov sindrom je življenjsko nevarna bolezen in ob izdaji dovoljenja za promet z zdravilom Livmarli za to bolezen ni bilo odobreno nobeno drugo zdravljenje. Ker je to zelo redka bolezen, so bile študije majhne in omejene, vendar se je zdravilo Livmarli izkazalo za učinkovito pri zmanjševanju ravni žolčne kisline v krvi bolnikov s to boleznijo in izboljšanju s tem povezanih simptomov, kot je denimo močno srbenje. Čeprav so podatki o varnosti zdravila Livmarli omejeni in je treba zbrati dodatne informacije, so doslej opaženi neželeni učinki sprejemljivi. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Livmarli večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Livmarli je pridobilo dovoljenje za promet „v izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh podatkov o zdravilu. Evropska agencija za zdravila bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo. Če bo potrebno, bo posodobljen tudi ta povzetek.

Katere informacije o zdravilu Livmarli še pričakujemo?

Ker je zdravilo Livmarli pridobilo dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah, bo podjetje, ki ga trži, vsako leto predložilo posodobljene informacije o varnosti in učinkovitosti tega zdravila. Poleg tega bo izvedlo študijo za podrobnejšo opredelitev dolgoročne varnosti in učinkovitosti zdravila pri zdravljenju holestatskega pruritisa.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Livmarli?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Livmarli upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Livmarli stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Livmarli, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Livmarli

Nadaljnje informacije za zdravilo Livmarli so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/livmarli