



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/936379/2022
EMA/H/C/005857

Livmarli (maralixibatklorid)

Sammanfattning av Livmarli och varför det är godkänt inom EU

Vad är Livmarli och vad används det för?

Livmarli är ett läkemedel som används för att behandla patienter från 2 månaders ålder med kolestatisk klåda (intensiv klåda på grund av ansamling av galla) orsakad av Alagilles syndrom.

Alagilles syndrom är en ärftlig sjukdom där gallan (en vätska som bildas i levern och som hjälper till att bryta ner fett i maten) inte dräneras ordentligt från levern, vilket leder till en ansamling av gallsyra i levern och blodet. Ett av symtomen på denna ansamling är kolestatisk klåda.

Alagilles syndrom är sällsynt och Livmarli klassificerades som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 18 december 2013. Mer information om klassificeringen som sär-läkemedel finns här: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-13-1214>.

Livmarli innehåller den aktiva substansen maralixibatklorid.

Hur används Livmarli?

Behandling med Livmarli måste inledas och övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla leversjukdomar såsom Alagilles syndrom. Läkemedlet är receptbelagt.

Livmarli finns som en lösning som ska tas genom munnen. Dosen beror på patientens kroppsvikt och ges en gång om dagen. Behandlingen inleds med en låg dos som läkaren sedan ökar efter en vecka. Om patienten får vissa biverkningar kan man behöva sänka dosen eller avbryta behandlingen. Läkaren ska överväga en alternativ behandling om patienten inte uppvisar någon förbättring efter 3 månader.

För mer information om hur du använder Livmarli, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Livmarli?

Den aktiva substansen i Livmarli, maralixibatklorid, blockerar verkan av ett protein, nämligen den apikala natriumberoende gallsyretransportören (ASBT), som även kallas ileal gallsyretransportör (IBAT). Detta protein hjälper till att transportera gallsyror från tarmen tillbaka till blodet och levern. Genom att blockera ASBT minskar läkemedlet mängden gallsyra som transporteras från tarmen in i

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



levern. Detta leder till att överskott av gallsyra avlägsnas från kroppen, vilket minskar ansamlingen av gallsyra och lindrar symtomen vid kolestatisk klåda.

Vilka fördelar med Livmarli har visats i studierna?

Fördelarna med Livmarli utvärderades i två huvudstudier. I den första studien blev 31 barn i åldern 1–18 år med Alagilles syndrom behandlade med Livmarli i 18 veckor, varefter deras svar på behandlingen utvärderades.

De 29 patienter som uppvisade en sänkning av gallsyrenivåerna i blodet på minst 50 procent efter den första 18 veckor långa behandlingen med läkemedlet fick därefter antingen placebo (overksam behandling) eller Livmarli i 4 veckor. Resultaten visade att man hos patienter som fortsatte behandlingen med Livmarli i 4 veckor fortfarande såg en sänkning av gallsyrenivån, medan man hos dem som bytte behandling till placebo såg en signifikant ökning. Efter denna fyraveckorsperiod fick alla patienter Livmarli igen. När de patienter som fick placebo återupptog behandlingen med Livmarli sjönk deras gallsyrenivåer i blodet till nivåer som tidigare setts med Livmarli. Studien visade också att behandling med Livmarli förbättrade symtomen på klåda i samband med sjukdomen.

I den andra studien, som omfattade 8 barn i åldern 2 månader till yngre än 1 år, jämfördes inte Livmarli med någon annan behandling eller placebo. Resultaten av studien visade att efter 13 veckors behandling uppvisade patienterna i genomsnitt en förbättring av symtomen på klåda i samband med sjukdomen och en minskning av gallsyrenivån i blodet.

Vilka är riskerna med Livmarli?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Livmarli (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är diarré och buksmärta (magont).

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Livmarli finns i bipacksedeln.

Varför är Livmarli godkänt i EU?

Alagilles syndrom är en livshotande sjukdom. Vid tidpunkten för godkännandet av Livmarli fanns det ingen annan godkänd behandling för denna sjukdom. Eftersom det är en mycket sällsynt sjukdom var studierna små och begränsade, men Livmarli visade sig vara effektivt när det gällde att minska mängden gallsyra i blodet hos patienter med sjukdomen samt förbättra symtomen i samband med den, såsom intensiv klåda. Även om uppgifterna om Livmarlis säkerhet är begränsade och ytterligare uppgifter behöver samlas in anses de biverkningar som man sett hittills vara godtagbara. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Livmarli är större än riskerna och att Livmarli kan godkännas för försäljning i EU.

Livmarli har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Livmarli eftersom sjukdomen är sällsynt. EMA går varje år igenom all ny information som kan ha kommit fram och uppdaterar denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Livmarli saknas för närvarande?

Eftersom Livmarli har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall" ska företaget som marknadsför Livmarli årligen lämna uppdateringar om all ny information om Livmarlis säkerhet och effekt. Dessutom kommer företaget att genomföra och lämna in resultaten av en studie för att ytterligare karakterisera läkemedlets långsiktiga säkerhet och effekt vid behandling av kolestatisk klåda.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Livmarli?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Livmarli har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Livmarli kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Livmarli utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienter.

Mer information om Livmarli

Mer information om Livmarli finns på EMA:s webbplats:

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