



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/96192/2018
EMA/H/C/004093

Ocaliva (*obetikoolihappo*)

Yleiskatsaus, joka koskee Ocalivaa ja sitä, miksi se on saanut myyntiluvan EU:ssa.

Mitä Ocaliva on ja mihin sitä käytetään?

Ocalivaa käytetään maksasairauden nimeltä primaarinen biliarinen kolangiitti hoitoon aikuisilla.

Primaarinen biliarinen kolangiitti on autoimmuunisairaus, joka johtaa asteittain maksan sisäisten sappiteiden tuhoutumiseen. Sappitiet kuljettavat sappinestettä maksasta suolistoon, jossa se auttaa sulattamaan rasvaa. Kun sappitiet vaurioituvat, sappineste kertyy maksaan ja vaurioittaa maksakudosta. Tästä voi seurata arpeutumista ja maksan vajaatoiminta, ja se voi myös lisätä maksasyövän riskiä.

Ocalivan vaikuttava aine on obetikoolihappo. Sitä käytetään yhdessä toisen lääkkeen, ursodeoksikoolihapon (UDCA) kanssa potilailla, joiden vaste UDCA:lle pelkästään ei ole riittävä, tai yksilääkehoitona potilailla, jotka eivät siedä UDCA:ta.

Primaarinen biliarinen kolangiitti on harvinainen sairaus, ja Ocaliva nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 27. heinäkuuta 2010. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä löytyy täältä: ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare/disease/designation.

Miten Ocalivaa käytetään?

Ocalivaa on saatavana tabletteina (5 ja 10 mg), ja sitä saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Suositeltu aloitusannos on 5 mg kerran päivässä tai 5 mg kerran viikossa riippuen potilaan maksan vajaatoiminnan vakavuudesta (tämä on määriteltävä ennen Ocalivalla annettavan hoidon aloittamista). Annosta voidaan suurentaa muutamien kuukausien kuluttua, jos potilas sietää hyvin Ocalivaa. Jos potilaalla esiintyy sietämätöntä kutinaa (Ocalivan mahdollinen sivuvaikutus), annosta voidaan pienentää tai hoito voidaan joutua lopettamaan.

Lisätietoja Ocalivan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.



Miten Ocaliva vaikuttaa?

Ocalivan vaikuttava aine, obetikoolihappo, on sappihapon (sappinesteen pääasiallinen osatekijä) muokattu muoto. Se toimii pääasiassa kiinnittymällä maksan ja suoliston reseptoreihin (farnesoidi-X-reseptorit), jotka säätelevät sappinesteen tuotantoa. Näihin reseptoreihin kiinnittymällä Ocaliva vähentää sappinesteen tuotantoa maksassa estäen sen kertymistä ja maksakudoksen vaurioitumista.

Mitä hyötyä Ocalivasta on havaittu tutkimuksissa?

Ocalivaa verrattiin lumelääkkeeseen yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 217 aikuista, jotka sairastivat primaarista biliaarista kolangiittia ja jotka olivat käyttäneet UDCA:ta vähintään vuoden tai jotka eivät sietäneet UDCA:ta. Tehon mitta perustui niiden potilaiden määrään, joiden bilirubiinin ja alkalisen fosfataasin (maksavaurion markkereita) pitoisuus veressä väheni vähintään 15 prosenttia (alkalisen fosfataasin AFOSin osalta) ja alle tietyn normaaliksi katsotun arvon (bilirubiinin osalta) vuoden kestäneen hoidon jälkeen.

Tutkimus osoitti, että Ocaliva vähensi bilirubiinin ja AFOSin pitoisuutta veressä lumelääkettä tehokkaammin: pitoisuudet vähenivät vaaditun määrän 47 prosentilla (34:llä 73:sta) Ocalivaa 10 mg saaneista potilaista ja 46 prosentilla (32:lla 70:stä) potilaista, joita hoidettiin nostamalla Ocalivan annosta (5 mg:sta 10 mg:aan), kun ne lumelääkettä saaneista potilaista vähenivät 10 prosentilla (7:llä 73:sta).

Mitä riskejä Ocalivaan liittyy?

Ocalivan yleisimmät sivuvaikutukset ovat kutina (jota saattaa aiheutua useammalle kuin kuudelle potilaalle kymmenestä) ja väsymys (jota saattaa aiheutua useammalle kuin kahdelle potilaalle kymmenestä). Kutina on myös yleisin sivuvaikutus, joka voi johtaa hoidon keskeyttämiseen. Useimmissa tapauksissa kutina alkaa ensimmäisen kuukauden aikana hoidon aloittamisesta, ja se heikkenee tavallisesti ajan myötä hoidon jatkuessa. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Ocalivan sivuvaikutuksista.

Ocalivaa ei saa antaa potilaille, joilla on sappitien täydellinen tukos. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista rajoituksista.

Miksi Ocaliva on hyväksytty EU:ssa?

Primaarista biliaarista kolangiittia sairastaville potilaille on vain rajallisesti hoitovaihtoehtoja. Ocalivan on osoitettu vähentävän bilirubiinin ja AFOSin pitoisuuksia veressä primaarista biliaarista kolangiittia sairastavilla potilailla, myös niillä, jotka eivät siedä UDCA:ta. Bilirubiinin ja AFOSin pitoisuudet laskivat siinä määrin, että sen voi katsoa viittaavan maksan tilan paranemiseen. Ocalivan kliininen hyöty on kuitenkin osoitettava lisätutkimuksissa. Lääkevalmisteen turvallisuusprofiili katsottiin suotuisaksi. Sivuvaikutukset olivat siedettäviä ja hallittavissa tukihoidolla (esimerkiksi kutinan osalta) sekä annostusta muuttamalla. Euroopan lääkevirasto katsoi, että Ocalivan hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa.

Ocalivalle annettiin ns. ehdollinen myyntilupa. Tämä tarkoittaa, että lääkevalmisteesta on odotettavissa lisää tietoa, jonka yhtiö on velvollinen toimittamaan. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Ocalivasta odotetaan vielä saatavan?

Koska Ocalivalle on annettu ehdollinen myyntilupa, Ocalivaa markkinoiva yhtiö toimittaa lisätietoa kahdesta tutkimuksesta, jotta lääkkeen teho ja turvallisuus voitaisiin varmistaa. Ensimmäisessä tutkimuksessa pyritään osoittamaan Ocalivan kliininen hyöty, ja toisessa tutkimuksessa tutkitaan Ocalivan hyötyjä potilailla, joilla on lievä tai vaikea maksasairaus.

Miten voidaan varmistaa Ocalivan turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Ocalivan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Ocalivan käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Ocalivasta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja suoritetaan kaikki tarvittavat toimet potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Ocalivasta

Ocaliva sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 12. joulukuuta 2016.

Lisätietoja Ocalivasta on saatavilla viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 03-2018.