



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ocaliva (*obetikólsav*)

Az Ocaliva nevű gyógyszer áttekintése és indoklás, hogy miért engedélyezték az EU-ban

Milyen típusú gyógyszer az Ocaliva és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Ocaliva-t egy májbetegségben, úgynevezett primer biliáris kolangitiszben szenvedő felnőttek kezelésére alkalmazzák.

A primer biliáris kolangitisz egy autoimmun betegség, amelyben a májban a kis epeutak fokozatosan károsodnak. Ezek az epeutak vezetnek el az epének nevezett folyadékot a májból a belekbe, ahol az a zsírok emésztésében vesz részt. Az epeutak károsodásának következtében az epe felhalmozódik a májban, ami a májszövet károsodását eredményezi. Ez hegesedéshez és májelégtelenséghez vezethet, és fokozhatja a májrák kockázatát.

Az Ocaliva hatóanyaga az obetikólsav. A gyógyszert egy másik gyógyszerrel, az urzodeoxikólsavval (UDCA) együtt alkalmazzák olyan betegeknek, akik nem reagálnak megfelelően az önmagában adott UDCA-ra, valamint monoterápiában azoknál a betegeknek, akik nem szedhetnek UDCA-t.

Mivel a primer biliáris kolangitisz „ritkának” minősül, ezért az Ocaliva-t 2010. július 27-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare%20disease%20designation).

Hogyan kell alkalmazni az Ocaliva-t?

Az Ocaliva tabletták (5 és 10 mg) formájában és csak receptre kapható. Az ajánlott kezdő adag naponta egyszer 5 mg, illetve heti egyszeri 5 mg a beteg májelégtelenségének mértékétől függően (amelyet az Ocaliva-kezelés előtt kell meghatározni). Amennyiben a beteg az Ocaliva-t jól tolerálja, pár hónap elteltével az adag emelhető. Csökkenthető a dózis, illetve szükség lehet a kezelés megszakítására azoknál a betegeknek, akik elviselhetetlen viszketést (az Ocaliva egyik lehetséges mellékhatása) tapasztalnak.

További információért az Ocaliva alkalmazásáról olvassa el a betegtájékoztatót vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.



Hogyan fejt ki hatását az Ocaliva?

Az Ocaliva hatóanyaga, az obetikólsav egy epesav (az epe fő alkotóeleme) módosított formája. Azáltal fejt ki hatását, hogy a májban és a bélben azokhoz a receptorokhoz (farnezoid X receptorok) kötődik, amelyek az epe termelését szabályozzák. A receptorokhoz való kötődés által az Ocaliva csökkenti az epetermelést a májban, ezáltal megakadályozza annak felhalmozódását és a májszövet károsodását.

Milyen előnyei voltak az Ocaliva alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az Ocaliva-t placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze egy fő vizsgálatban, amelyben 217, primer biliáris kolangitiszben szenvedő felnőtt vett részt, akik legalább egy évig szedtek UDCA-t, illetve akik nem szedhettek UDCA-t. A hatásosság mértéke azoknak a betegeknek a számán alapult, akiknél a bilirubin és az ALP (a májkárosodás jelzői) vérszintje (ALP esetén) legalább 15%-kal, illetve (bilirubin esetén) egy bizonyos, normálisnak tekintett érték alá csökkent 1 éves kezelést követően.

A vizsgálat azt mutatta, hogy az Ocaliva a placebónál hatásosabbnak bizonyult a bilirubin és az ALP vérszintjének csökkentésében: a vérszintek az előírt mértékben csökkentek a 10 mg Ocaliva-val kezelt betegek 47%-ánál (73-ból 34), a növekedő dózisú (5 mg-ról 10 mg-ra) Ocaliva-val kezelt betegek 46%-ánál (70-ből 32), szemben a placebóval kezelt betegek 10%-ával (73-ból 7).

Milyen kockázatokkal jár az Ocaliva alkalmazása?

Az Ocaliva leggyakoribb mellékhatásai a viszketés (10 beteg közül több mint 6-nál jelentkezhet) és a fáradtság (10 beteg közül több mint 2-nél jelentkezhet). A viszketés az a leggyakoribb mellékhatás is, amely a kezelés megszakításához vezethet. A megfigyelt esetek többségében a viszketés a kezelés első hónapjában jelentkezett, és idővel általában enyhült a kezelés folytatása alatt. Az Ocaliva alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Ocaliva nem alkalmazható azoknál a betegeknél, akiknél az epeutak teljesen elzáródtak. A korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték az Ocaliva forgalomba hozatalát az EU-ban?

A primer biliáris kolangitiszben szenvedő betegek számára a kezelési lehetőségek korlátozottak. Az Ocaliva igazoltan csökkenti a bilirubin és az ALP vérszintjét a primer biliáris kolangitiszben szenvedő betegeknél, beleértve azokat, akiket nem lehet UDCA-val kezelni. A bilirubin és ALP szintek csökkenése olyan mértékű volt, amely a máj állapotának javulására utal. Azonban az Ocaliva klinikai előnyeit további vizsgálatokban kell igazolni. A gyógyszer biztonságossági profilja kedvező, a mellékhatások tolerálhatók és támogató kezeléssel (például a viszketés esetén), valamint dózismódosítással kezelhetők. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Ocaliva alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható.

Az Ocaliva-t „feltételes forgalomba hozatali engedéllyel” engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a gyógyszerrel kapcsolatban további tudományos bizonyítékok várhatók, amelyek benyújtására kötelezték a vállalatot. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen információk várhatók még az Ocaliva-val kapcsolatban?

Mivel az Ocaliva forgalomba hozatalát „feltételes forgalombahozatali engedéllyel” engedélyezték, az Ocaliva-t forgalmazó vállalat a gyógyszer hatásosságának és biztonságosságának további

alátámasztása céljából két vizsgálatból kiegészítő adatokat fog benyújtani. . Az első vizsgálatot arra tervezték, hogy igazolja az Ocaliva klinikai előnyeit, a második vizsgálat pedig az Ocaliva előnyös hatását fogja tanulmányozni mérsékeltén súlyos és súlyos májbetegségben szenvedő betegek esetében.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Ocaliva biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Ocaliva biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Ocaliva alkalmazása során jelentkező információkat - hasonlóan minden más gyógyszerhez - folyamatosan monitorozzák. Az Ocaliva alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Ocaliva-val kapcsolatos egyéb információ

2016. december 12-én az Ocaliva megkapta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

További információ az Ocaliva-ról az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 03-2018.