



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ocaliva (*kwasi obetycholowy*)

Przegląd wiedzy na temat leku Ocaliva i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Co to jest lek Ocaliva i w jakim celu się go stosuje

Lek Ocaliva stosuje się w leczeniu osób dorosłych z chorobą wątroby znaną jako pierwotne żółciowe zapalenie dróg żółciowych.

Pierwotne żółciowe zapalenie dróg żółciowych jest schorzeniem autoimmunologicznym cechującym się postępującym niszczeniem małych przewodów żółciowych w wątrobie. Przewody te odpowiadają za transport cieczy zwanej żółcią z wątroby do jelit, gdzie pomaga ona w trawieniu tłuszczów. Wskutek uszkodzenia tych przewodów żółć gromadzi się w wątrobie, powodując uszkodzenie jej tkanek. Może to prowadzić do powstawania blizn i niewydolności wątroby, a także może zwiększać ryzyko rozwoju raka wątroby.

Substancją czynną leku Ocaliva jest kwas obetycholowy. Jest on stosowany w skojarzeniu z innym lekiem, kwasem ursodeoksycholowym (ursodeoxycholic acid, UDCA), u pacjentów z niedostateczną odpowiedzią na sam UDCA lub w monoterapii u pacjentów z nietolerancją UDCA.

Pierwotne żółciowe zapalenie dróg żółciowych występuje rzadko, zatem w dniu 27 lipca 2010 r. lek Ocaliva uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć tutaj: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Jak stosować lek Ocaliva

Lek Ocaliva jest dostępny w postaci tabletek (5 i 10 mg) i wydaje się go wyłącznie na receptę. Zalecana dawka początkowa wynosi 5 mg raz na dobę lub 5 mg raz na tydzień, w zależności od stopnia uszkodzenia wątroby pacjenta (który należy określić przed rozpoczęciem leczenia lekiem Ocaliva). Po upływie kilku miesięcy, jeśli lek Ocaliva jest dobrze tolerowany, można zwiększyć dawkę. U pacjentów, u których występuje niemożliwy do zaakceptowania świąd (możliwe działanie niepożądane przyjmowania leku Ocaliva), dawki można zmniejszyć lub należy rozważyć przerwanie leczenia.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Ocaliva znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.



Jak działa lek Ocaliva

Substancja czynna zawarta w leku Ocaliva, kwas obetycholowy, jest zmodyfikowaną formą jednego z kwasów żółciowych (główne składniki żółci). Działa głównie poprzez przyłączanie się do receptorów w wątrobie i jelitach (receptorów farnesoidowych X), które kontrolują produkcję żółci. Poprzez przyłączanie się do tych receptorów Ocaliva zmniejsza produkcję żółci w wątrobie, zapobiegając jej gromadzeniu się i uszkodzeniu tkanek wątroby.

Korzyści ze stosowania leku Ocaliva wykazane w badaniach

Lek Ocaliva porównywano z placebo (leczenie pozorowane) w badaniu głównym przeprowadzonym z udziałem 217 dorosłych pacjentów z pierwotnym żółciowym zapaleniem dróg żółciowych, którzy przyjmowali UDCA przez co najmniej 1 rok lub nie mogli przyjmować UDCA. Kryterium oceny skuteczności oparto na liczbie pacjentów, u których po roku leczenia stężenia bilirubiny i ALP (markerów uszkodzenia wątroby) we krwi zmniejszyły się o co najmniej 15% (w przypadku ALP) oraz spadły poniżej określonej wartości uznawanej za normę (w przypadku bilirubiny).

Badanie wykazało, że lek Ocaliva był bardziej skuteczny niż placebo w obniżaniu stężenia bilirubiny i ALP we krwi: stężenia obniżyły się do wymaganego poziomu u 47% (u 34 z 73) pacjentów otrzymujących lek Ocaliva w dawce 10 mg oraz u 46% (u 32 z 70) pacjentów leczonych zwiększającymi się dawkami leku Ocaliva (od 5 mg do 10 mg) w porównaniu z 10% (7 z 73) pacjentów przyjmujących placebo.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Ocaliva

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Ocaliva to: świąd skóry (mogący wystąpić u więcej niż 6 pacjentów na 10) oraz uczucie zmęczenia (mogące wystąpić u więcej niż 2 pacjentów na 10). Świąd jest też najczęstszym działaniem niepożądanym, które może prowadzić do przerwania leczenia. W większości obserwowanych przypadków świąd zaczynał się w pierwszym miesiącu po rozpoczęciu leczenia, a jego nasilenie zmniejszało się w miarę kontynuowania leczenia. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Ocaliva znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leku Ocaliva nie wolno stosować u pacjentów z całkowitą niedrożnością dróg żółciowych. Pełny wykaz ograniczeń znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Ocaliva w UE

Pacjenci z pierwotnym żółciowym zapaleniem dróg żółciowych mają ograniczone możliwości leczenia. Wykazano, że lek Ocaliva obniża stężenia bilirubiny i ALP we krwi pacjentów z pierwotnym żółciowym zapaleniem dróg żółciowych, w tym u tych pacjentów, którzy nie mogą być leczeni z użyciem UDCA. Obniżenia stężeń bilirubiny i ALP były obserwowane w stopniu wskazującym na poprawę stanu wątroby. Potrzeba jednak dalszych badań, które potwierdziłyby korzyści kliniczne leku Ocaliva. Profil bezpieczeństwa tego leku został uznany za korzystny, a działania niepożądane mogły być tolerowane i można było je łagodzić leczeniem wspomagającym (np. w przypadku świądu) oraz poprzez dostosowywanie dawki. Europejska Agencja Leków uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Ocaliva przewyższają ryzyko, i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Ocaliva uzyskał „warunkowe dopuszczenie do obrotu”. Oznacza to, że będą gromadzone dodatkowe informacje na temat tego leku, które firma ma obowiązek dostarczyć. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze ogólne informacje.

Jakich informacji jeszcze brakuje na temat leku Ocaliva

W związku z tym, że lek Ocaliva uzyskał warunkowe dopuszczenie do obrotu, firma wprowadzająca lek Ocaliva do obrotu dostarczy dodatkowych danych z dwóch badań w celu potwierdzenia bezpieczeństwa i skuteczności tego leku. Pierwsze badanie ma na celu wykazanie korzyści klinicznych leku Ocaliva, podczas gdy drugie badanie – określenie korzyści płynących z leku Ocaliva u pacjentów z umiarkowaną do ciężkiej postaci choroby wątroby.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Ocaliva

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Ocaliva w Charakterystyce produktu leczniczego i Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Ocaliva są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Ocaliva są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Ocaliva

Lek Ocaliva otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 12 grudnia 2016 r.

Dalsze informacje na temat leku Ocaliva znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Data ostatniej aktualizacji: 03.2018.