



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Ocaliva (*acid obeticolic*)

O prezentare generală a Ocaliva și de ce este autorizat acest medicament în UE

### Ce este Ocaliva și pentru ce se utilizează?

Ocaliva se utilizează în tratamentul adulților cu un tip de boală a ficatului numită colangită biliară primitivă.

Colangita biliară primitivă este o afecțiune autoimună în care se manifestă o distrugere treptată a canalelor biliare mici din ficat. Aceste canale transportă lichidul numit bilă de la ficat la intestine, unde are rolul de a ajuta la digerarea grăsimilor. Ca urmare a deteriorării canalelor, bila se acumulează în ficat și cauzează lezarea țesutului hepatic. Aceasta poate duce la sclerozarea ficatului sau la insuficiență hepatică și poate mări riscul de cancer de ficat.

Ocaliva conține substanța activă acid obeticolic. Medicamentul se utilizează împreună cu alt medicament, acidul ursodeoxicolic (UDCA), la pacienții care nu au prezentat un răspuns suficient la administrarea UDCA în monoterapie, precum și în monoterapie la pacienții care nu pot fi tratați cu UDCA.

Colangita biliară primitivă este considerată o boală „rară”, iar Ocaliva a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 27 iulie 2010. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite aici: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

### Cum se utilizează Ocaliva?

Ocaliva este disponibil sub formă de comprimate (5 și 10 mg) și se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Doza inițială recomandată este de 5 mg o dată pe zi sau de 5 mg o dată pe săptămână, în funcție de gradul de insuficiență hepatică al pacientului (care trebuie stabilit înainte de inițierea tratamentului cu Ocaliva). Dacă Ocaliva este bine tolerat, doza poate fi mărită după câteva luni. Dozele pot fi reduse sau poate fi necesară oprirea tratamentului la pacienții care manifestă mâncărime intolerabilă (o reacție adversă posibilă la administrarea Ocaliva).

Pentru mai multe informații despre utilizarea Ocaliva, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.



## Cum acționează Ocaliva?

Substanța activă din Ocaliva, acidul obeticolic, este o formă modificată a unui acid biliar (principalele componente ale bilei). Aceasta acționează în principal legându-se de receptorii din ficat și din intestin (receptorii X farnesoid) care controlează producția de bilă. Prin legarea de acești receptori, Ocaliva reduce producția de bilă la nivelul ficatului, împiedicând acumularea acesteia și lezarea țesutului hepatic.

## Ce beneficii a prezentat Ocaliva pe parcursul studiilor?

Ocaliva a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv) într-un studiu principal la care au participat 217 de adulți cu colangită biliară primitivă cărora fie li se administrase UDCA cel puțin 1 an, fie nu puteau fi tratați cu UDCA. Indicatorul de eficacitate s-a bazat pe numărul de pacienți la care concentrațiile din sânge ale substanțelor bilirubină și ALP (indicatori ai leziunilor hepatice) au scăzut cu cel puțin 15 % (în cazul ALP) și sub o anumită valoare considerată normală (în cazul bilirubinei) după 1 an de tratament.

Studiul a demonstrat că Ocaliva a fost mai eficace decât placebo la reducerea concentrațiilor de bilirubină și ALP din sânge: concentrațiile au scăzut până la valorile necesare la 47 % (34 din 73) din pacienții tratați cu Ocaliva 10 mg și la 46 % (32 din 70) din pacienții tratați cu doze din ce în ce mai mari de Ocaliva (de la 5 mg până la 10 mg), față de 10 % (7 din 73) din pacienții cărora li s-a administrat placebo.

## Care sunt riscurile asociate cu Ocaliva?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Ocaliva sunt mâncărimea (care poate afecta mai mult de 6 persoane din 10) și oboseala (care poate afecta mai mult de 2 persoane din 10). Mâncărimea este, de asemenea, cea mai frecventă reacție adversă care poate duce la oprirea tratamentului. Majoritatea cazurilor de mâncărime s-au produs în prima lună de tratament și au avut tendința de a dispărea în timp, la continuarea tratamentului. Pentru lista completă a reacțiilor adverse asociate cu Ocaliva, citiți prospectul.

Ocaliva este contraindicat la pacienții la care canalele biliare sunt blocate complet. Pentru lista completă de restricții, citiți prospectul.

## De ce a fost autorizat Ocaliva în UE?

Pacienții cu colangită biliară primitivă au opțiuni de tratament limitate. S-a demonstrat că Ocaliva reduce concentrațiile de bilirubină și ALP din sânge la pacienții care suferă de colangită biliară primitivă, inclusiv la cei cărora nu li s-a putut administra tratament cu UDCA. Gradul de reducere a concentrațiilor de bilirubină și ALP au indicat ameliorarea stării ficatului. Cu toate acestea, este necesar ca beneficiile clinice ale Ocaliva să fie demonstrate în studii suplimentare. Profilul de siguranță al medicamentului a fost considerat favorabil, cu reacții adverse care pot fi tolerate și gestionate cu tratament adjuvant (de exemplu, în cazul mâncărimii) și prin ajustarea dozelor. Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Ocaliva sunt mai mari decât riscurile asociate și că acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ocaliva a primit „aprobare condiționată”. Aceasta înseamnă că sunt așteptate dovezi suplimentare despre acest medicament, pe care compania are obligația să le furnizeze. În fiecare an, Agenția va analiza orice informație nou apărută, iar această prezentare generală va fi actualizată, după caz.

## **Ce informații se așteaptă în continuare despre Ocaliva?**

Având în vedere că Ocaliva a primit aprobare condiționată, compania care comercializează Ocaliva va furniza date suplimentare din două studii, pentru a confirma eficacitatea și siguranța medicamentului. Primul studiu este conceput să demonstreze beneficiul clinic al Ocaliva, iar al doilea studiu va investiga beneficiile Ocaliva la pacienții cu boală hepatică în forme moderate până la severe.

## **Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Ocaliva?**

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Ocaliva, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Similar tuturor medicamentelor, datele cu privire la utilizarea Ocaliva sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate la Ocaliva sunt evaluate cu atenție și sunt luate orice măsuri necesare pentru protecția pacienților.

## **Alte informații despre Ocaliva**

Ocaliva a primit o autorizație de punere pe piață validă pe întreg teritoriul UE la 12 decembrie 2016.

Informații suplimentare cu privire la Ocaliva sunt disponibile pe site-ul Agenției: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 03-2018.