



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17 de septiembre de 2021
EMA/507929/2021
EMA/H/C/005551

Retirada de la solicitud de autorización de comercialización de Livmarli (cloruro de maralixibat)

FGK Representative Service GmbH retiró su solicitud de autorización de comercialización de Livmarli para el tratamiento de la colestasis intrahepática familiar progresiva de tipo 2 (CIFP2) en pacientes a partir de 1 año de edad.

La empresa retiró la solicitud el 23 de agosto de 2021.

¿Qué es Livmarli y a qué uso estaba destinado?

Livmarli se desarrolló como medicamento para tratar la CIFP2 progresiva en pacientes a partir de 1 año de edad. La CIFP2 es un trastorno hepático hereditario en el que se acumulan ácidos biliares en la sangre y el hígado que causan picor y daño hepático. Estos ácidos biliares son componentes de la bilis, un líquido que produce el hígado y que se libera en el intestino para ayudar a la digestión.

Livmarli contiene el principio activo cloruro de maralixibat e iba a presentarse en una solución que se tomaría por vía oral.

Este medicamento fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 16 de enero de 2014 para el tratamiento de la colestasis intrahepática familiar progresiva. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la página web de la Agencia: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3131216>.

¿Cómo actúa Livmarli?

Se espera que el medicamento reduzca la cantidad de ácidos biliares en sangre e hígado. Se cree que el principio activo de Livmarli, el cloruro de maralixibat, bloquea la acción de una proteína conocida como ASBT que ayuda a transportar ácidos biliares del intestino a la sangre y el hígado. En lugar de esto, cuando se bloquean las proteínas ASBT, los ácidos biliares se excretan del organismo. Se espera que esto reduzca la acumulación de ácidos biliares en sangre e hígado, reduciendo así el picor y el daño hepático observados en los pacientes con CIFP2.

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



¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

La empresa presentó los resultados de un único estudio en el que participaron 25 pacientes con CIFP2 de entre 1 y 13 años de edad que fueron tratados con Livmarli durante un máximo de 5 años o más. El criterio principal de valoración de la eficacia fue la disminución de los niveles de ácidos biliares en sangre al cabo de 13 semanas de tratamiento. Livmarli no se comparó con otros medicamentos ni con un placebo (un tratamiento ficticio).

¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?

La solicitud fue retirada después de que la Agencia Europea de Medicamentos hubiese evaluado la información inicial facilitada por la empresa y preparado una serie de preguntas. La empresa no había respondido a las preguntas en el momento de la retirada.

¿Qué recomendaba la Agencia en ese momento?

Estudiada la documentación, en el momento de la retirada la Agencia tenía reservas y, provisionalmente, consideraba que Livmarli no hubiera podido aprobarse para el tratamiento de la CIFP2.

Las reservas de la Agencia se referían a la eficacia del medicamento en el tratamiento de la CIFP2, basándose en importantes incertidumbres sobre los datos disponibles. En términos de eficacia, el estudio no demostró un efecto significativo del tratamiento en pacientes con CIFP2 después de 13 semanas de tratamiento. Por tanto, no fue posible extraer conclusiones sobre la eficacia a largo plazo de Livmarli en la población de pacientes destinatarios. La Agencia también tenía reservas sobre algunos aspectos del proceso de fabricación y el cumplimiento de las buenas prácticas de fabricación.

Por consiguiente, en el momento de la retirada, la Agencia estimaba que los beneficios de Livmarli no superaban a los riesgos.

¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?

En el [escrito](#) en el que notificaba a la Agencia la retirada de su solicitud, la empresa declaró que la decisión de retirarla se basaba en un cambio en las estrategias empresariales y reglamentarias de la empresa tras el debate con el CHMP y en previsión de los próximos datos adicionales.

¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos?

La empresa informó a la Agencia de que no hay consecuencias para los pacientes que participan en ensayos clínicos con Livmarli.

Si participa usted en un ensayo clínico y precisa información adicional acerca de su tratamiento, hable con su médico en el ensayo clínico.