



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/270686/2024
EMA/H/C/005857

Livmarli (*cloruro de maralixibat*)

Información general sobre Livmarli y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Livmarli y para qué se utiliza?

Livmarli es un medicamento que se utiliza para el tratamiento de pacientes a partir de 2 meses de edad con prurito colestático (picor intenso debido a la acumulación de bilis) causado por el síndrome de Alagille. También se utiliza para el tratamiento de pacientes a partir de 3 meses de edad con colestasis intrahepática familiar progresiva.

El síndrome de Alagille y la colestasis intrahepática familiar progresiva son enfermedades hereditarias en las que la bilis (un líquido producido en el hígado que ayuda a descomponer las grasas) no puede drenarse adecuadamente del hígado, lo que da lugar a una acumulación de ácido biliar en el hígado y en la sangre. Uno de los síntomas de esta acumulación es el prurito colestático. La colestasis intrahepática se asocia a un daño hepático progresivo y puede provocar cirrosis e insuficiencia hepática en fase terminal.

Estas enfermedades son raras y Livmarli fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado para tratar enfermedades raras). Puede encontrar información adicional sobre las designaciones de medicamentos huérfanos en el sitio web de la EMA ([síndrome de Alagille](#); [colestasis intrahepática familiar progresiva](#)).

Livmarli contiene el principio activo cloruro de maralixibat.

¿Cómo se usa Livmarli?

El tratamiento con Livmarli debe iniciarlo y supervisarlo un médico con experiencia en el tratamiento de enfermedades hepáticas como el síndrome de Alagille y la colestasis intrahepática familiar progresiva. Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica.

Livmarli se presenta como solución para administración por vía oral. La dosis depende de la enfermedad que se esté tratando. En caso de que el paciente desarrolle ciertos efectos adversos, puede ser necesario reducir la dosis o interrumpir el tratamiento. En el caso de los pacientes que no muestren una mejoría al cabo de 3 meses, el médico debe considerar un tratamiento alternativo.

Si desea más información sobre el uso de Livmarli, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.



¿Cómo actúa Livmarli?

El principio activo de Livmarli, el cloruro de maralixibat, bloquea la acción de una proteína denominada transportador apical de ácidos biliares dependientes del sodio (ASBT), también conocida como transportador ileal de ácidos biliares (IBAT), que ayuda a transportar los ácidos biliares del intestino a la sangre y el hígado. Al bloquear la ASBT, el medicamento reduce la cantidad de ácidos biliares que se transporta desde el intestino hasta el hígado. Esto hace que se elimine del organismo un exceso de ácidos biliares, con lo que se reduce la acumulación de ácidos biliares y se alivian los síntomas del prurito colestático.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Livmarli en los estudios realizados?

Síndrome de Alagille

Los beneficios de Livmarli se evaluaron en dos estudios principales. En el primer estudio, 31 niños de 1 a 18 años con síndrome de Alagille fueron tratados con Livmarli durante 18 semanas, tras lo cual se evaluó su respuesta al tratamiento.

Los 29 pacientes que presentaron una disminución de los niveles de ácidos biliares en la sangre de al menos el 50 % tras el tratamiento inicial de 18 semanas con el medicamento fueron asignados posteriormente para recibir un placebo (tratamiento ficticio) o Livmarli durante 4 semanas. Los resultados demostraron que los pacientes que continuaron el tratamiento con Livmarli durante 4 semanas seguían presentando una reducción de los niveles de ácidos biliares, mientras que los que cambiaron el tratamiento a placebo experimentaron aumentos significativos. Al cabo de este período de 4 semanas, todos los pacientes recibieron de nuevo Livmarli. Cuando los pacientes que tomaron placebo reanudaron el tratamiento con Livmarli, sus niveles en sangre se redujeron a los niveles observados anteriormente con Livmarli. El estudio también demostró que el tratamiento con Livmarli mejoró los síntomas de picor asociados a la enfermedad.

En el segundo estudio, en el que participaron 8 niños de entre 2 meses y menos de 1 año, Livmarli no se comparó con ningún otro tratamiento ni con un placebo. Los resultados del estudio demostraron que, al cabo de 13 semanas de tratamiento, los pacientes presentaban, por término medio, una mejoría de los síntomas de picor asociados a la enfermedad y una reducción del nivel de ácidos biliares en la sangre.

Colestasis intrahepática familiar progresiva

Los beneficios de Livmarli se evaluaron en un estudio principal en el que participaron 93 niños de entre 1 y 15 años con colestasis intrahepática familiar progresiva. Los pacientes recibieron Livmarli o placebo durante 26 semanas, tras lo cual se evaluó su respuesta al tratamiento. Los resultados mostraron que los pacientes tratados con Livmarli experimentaron una reducción del nivel de ácido biliar en su sangre, mientras que los niveles de ácido biliar no cambiaron en los pacientes a los que se administró placebo. La gravedad del picor experimentado por los pacientes también disminuyó más en aquellos a los que se administró Livmarli en comparación con placebo.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Livmarli?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Livmarli se puede consultar en el prospecto.

En pacientes con síndrome de Alagille, los efectos adversos más frecuentes de Livmarli (que pueden afectar a más de 1 de cada 5 pacientes) incluyen diarrea y dolor abdominal (dolor de vientre). En

pacientes con colestasis intrahepática familiar progresiva, la diarrea puede afectar a más de 1 de cada 5 personas y el dolor abdominal puede aparecer en hasta 1 de cada 10 personas.

¿Por qué se ha autorizado Livmarli en la UE?

El síndrome de Alagille y la colestasis intrahepática familiar progresiva son enfermedades potencialmente mortales con opciones de tratamiento limitadas. Dado que ambas enfermedades son muy raras, los estudios fueron escasos y presentaban limitaciones, pero Livmarli demostró ser eficaz para reducir la cantidad de ácido biliar en la sangre de los pacientes con colestasis intrahepática familiar progresiva y mejorar los síntomas, como el picor intenso, en pacientes con cualquiera de las dos enfermedades. Aunque los datos sobre la seguridad de Livmarli son limitados y es necesario recopilar ulterior información, los efectos adversos observados hasta la fecha se consideran aceptables. Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Livmarli son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE.

Livmarli se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Livmarli debido a la rareza de la enfermedad. La Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará anualmente la información nueva que esté disponible y actualizará esta información general cuando sea necesario.

¿Qué información falta todavía sobre Livmarli?

Dado que Livmarli se ha autorizado en circunstancias excepcionales, la compañía que comercializa Livmarli proporcionará actualizaciones anuales sobre cualquier nueva información relativa a la seguridad y la eficacia de Livmarli. Además, la empresa llevará a cabo y presentará los resultados de un estudio con el fin de caracterizar mejor la seguridad y la eficacia a largo plazo del medicamento para el tratamiento del prurito colestático en pacientes con síndrome de Alagille y colestasis intrahepática familiar progresiva.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Livmarli?

La compañía que comercializa Livmarli proporcionará a los médicos materiales que les ayuden a explicar a los pacientes con colestasis intrahepática familiar progresiva cuándo y cómo tomar este medicamento y cuánto necesitan tomar.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Livmarki se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Livmarli se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados con Livmarli se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Livmarli

Livmarli recibió una autorización de comercialización en circunstancias excepcionales válida en toda la UE el 9 de diciembre de 2022.

Puede encontrar más información sobre Livmarli en la página web de la Agencia:

ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/livmarli.

Fecha de la última actualización de este resumen: 07-2024.

