



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

3 de diciembre de 2024

Revocación de la autorización condicional de comercialización de Ocaliva

Ya no se considera que los beneficios de Ocaliva sean superiores a sus riesgos

El 27 de junio de 2024, el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la EMA concluyó su revisión del medicamento Ocaliva (ácido obetecólico) y recomendó que se revocara la autorización de comercialización del mismo, puesto que ya no se considera que sus beneficios superen a los riesgos. Ocaliva se utiliza para el tratamiento de la colangitis biliar primaria (CBP) en adultos, una enfermedad autoinmunitaria que provoca la destrucción gradual de los conductos biliares del hígado, lo que puede llevar a una insuficiencia hepática y aumentar el riesgo de cáncer hepático.

En el momento de su autorización condicional de comercialización, en 2016, se demostró que Ocaliva reducía los niveles sanguíneos de fosfatasa alcalina (FA) y bilirrubina (marcadores de daño hepático) en pacientes con CBP, lo que se consideró indicativo de una mejora en el estado del hígado. Sin embargo, era necesario demostrar las ventajas clínicas de Ocaliva mediante otros estudios, que fueron solicitados por la EMA como parte de las condiciones de la autorización de comercialización del medicamento. En particular, el [estudio 747-302](#) fue un ensayo clínico aleatorizado destinado a confirmar las ventajas clínicas y la seguridad de Ocaliva en pacientes que no responden suficientemente bien al ácido ursodesoxicólico (AUDC, otro medicamento para la CBP) o que no pueden tomar AUDC.

El CHMP revisó las conclusiones de este estudio, junto con otros datos disponibles, incluidos los datos de la vida real y los datos de estudios de apoyo presentados por la empresa que comercializa Ocaliva, así como la información presentada por los profesionales sanitarios y las asociaciones de pacientes. Además, el CHMP tuvo en cuenta las observaciones de un grupo de expertos en enfermedades hepáticas, que aportó sus puntos de vista sobre cuestiones específicas planteadas por el CHMP, así como las opiniones de personas que padecían CBP.

Tras revisar las pruebas disponibles, el Comité concluyó que no se han confirmado las ventajas clínicas de Ocaliva. En particular, el estudio 747-302 no demostró que Ocaliva fuera más eficaz que el placebo (un tratamiento ficticio) en cuanto al número de pacientes cuya enfermedad empeoró o que fallecieron, tanto en la población general como en un grupo de pacientes con CBP en fase inicial.

El Comité también consideró que los datos de los estudios de apoyo y los datos de la vida real no eran suficientes para confirmar los beneficios de Ocaliva y no podían contrarrestar los resultados negativos del estudio 747-302. Por consiguiente, el CHMP concluyó que los beneficios de Ocaliva no son mayores

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



que sus riesgos y recomendó que se revocara su autorización de comercialización en la Unión Europea (UE).

El dictamen del CHMP se envió a la Comisión Europea, que emitió una decisión jurídicamente vinculante aplicable en todos los Estados miembros de la UE el 30 de agosto de 2024.

Información destinada a los pacientes

- Un estudio reciente no ha confirmado que el medicamento Ocaliva (ácido obeticólico) sea eficaz en el tratamiento de la colangitis biliar primaria (CBP, una enfermedad autoinmunitaria que provoca la destrucción gradual de los pequeños conductos biliares del hígado).
- El estudio 747-302 no demostró que Ocaliva fuera más eficaz que el placebo (un tratamiento ficticio) en cuanto al número de pacientes cuya enfermedad empeoró o que fallecieron, tanto en la población general como en un grupo de pacientes con CBP en fase inicial.
- Por consiguiente, el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la EMA recomendó que se retirara Ocaliva del mercado de la Unión Europea, puesto que ya no se considera que sus beneficios superen a los riesgos. Sin embargo, la empresa puede seguir suministrando el medicamento mediante programas de uso compasivo o a pacientes concretos que ya estuvieran recibiendo Ocaliva.
- Si está tomando Ocaliva, debe hablar con su médico sobre esta decisión y lo que significa para usted y para su tratamiento.

Información destinada a los profesionales sanitarios

- Una revisión de los datos disponibles concluyó que no se han confirmado las ventajas clínicas de Ocaliva (ácido obeticólico), utilizado para tratar la colangitis biliar primaria (CBP).
- En particular, el estudio 747-302 no logró demostrar ninguna diferencia entre Ocaliva y placebo para el criterio combinado de valoración principal (muerte, trasplante de hígado o descompensación hepática) en la población total de pacientes con CBP que no responden o no toleran el ácido ursodesoxicólico [HR 1,01 (IC del 95 %: 0,68-1,51); valor de p: 0,954].
- Por consiguiente, la EMA recomendó la revocación de la autorización de comercialización de Ocaliva en la Unión Europea, puesto que ya no se considera que sus beneficios superen a los riesgos. Sin embargo, la empresa puede seguir suministrando el medicamento mediante programas de uso compasivo o a pacientes concretos que ya lo estuvieran recibiendo.
- Los profesionales sanitarios no deben comenzar el tratamiento de nuevos pacientes con Ocaliva, fuera de un ensayo clínico. En el caso de los pacientes que estén actualmente en tratamiento con Ocaliva, deben tenerse en cuenta las opciones de tratamiento disponibles.

Se ha enviado una comunicación directa a los profesionales sanitarios (DHPC) que prescriben, dispensan o administran el medicamento. La DHPC también se ha publicado en una [página específica](#) en el sitio web de la EMA.

Información adicional sobre el medicamento

Ocaliva (ácido obeticólico) se utiliza para el tratamiento de la colangitis biliar primaria (CBP) en adultos, una enfermedad autoinmunitaria que provoca la destrucción gradual de los conductos biliares del hígado. Como consecuencia de la lesión de los conductos biliares, la bilis se acumula en el hígado y daña el tejido hepático. Esto puede provocar cicatrices e insuficiencia hepática y aumentar el riesgo de cáncer de hígado. Ocaliva se utiliza junto con otro fármaco, el ácido ursodesoxicólico (AUDC), en pacientes con una respuesta insuficiente al AUDC, así como en monoterapia en pacientes que no pueden tomar AUDC.

La CBP es una enfermedad rara, y Ocaliva fue [designado «medicamento huérfano»](#) (un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 27 de julio de 2010.

Ocaliva recibió una [autorización condicional de comercialización](#) en diciembre de 2016. La autorización condicional se concede sobre la base de datos menos exhaustivos de lo que se requiere normalmente. Se aplica a medicamentos que satisfacen una necesidad médica aún no cubierta en el tratamiento de enfermedades graves, y cuando los beneficios de disponer antes de esos medicamentos superan a los riesgos asociados al uso de los mismos mientras se esperan más pruebas.

En el momento de la aprobación, el estudio principal demostró que Ocaliva reducía los niveles sanguíneos de las sustancias FA y bilirrubina (marcadores de daño hepático) en pacientes con CBP, incluidos aquellos que no podían ser tratados con AUDC. Las reducciones de la FA y de la bilirrubina se consideraron indicadores de futuras mejoras en el estado del hígado. Sin embargo, se necesitaba confirmar los beneficios de Ocaliva en estudios posteriores.

Por consiguiente, se concedió al medicamento una autorización de comercialización a condición de que la empresa presentara más datos sobre sus beneficios y su seguridad procedentes de otros dos estudios (estudio 747-302 y estudio 747-401).

Puede encontrar más información sobre el medicamento en la [página web de la EMA](#).

Más información sobre el procedimiento

La revisión de Ocaliva se inició a petición de la Comisión Europea, de conformidad con el [Artículo 20 del Reglamento \(CE\) n.º 726/2004](#).

Dicha evaluación corrió a cargo del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP), responsable de los aspectos relacionados con los medicamentos para uso en seres humanos, que adoptó el dictamen de la Agencia. El dictamen del CHMP se envió a la Comisión Europea, que emitió una decisión jurídicamente vinculante aplicable en todos los Estados miembros de la UE el 30 de agosto de 2024.

Mediante su auto de 4 de septiembre de 2024 en el asunto T-455/24 R, el presidente del Tribunal General suspendió temporalmente la Decisión de la Comisión Europea de 30 de agosto de 2024 por la que se revocaba la autorización condicional de comercialización de Ocaliva.

Mediante su orden de 26 de noviembre de 2024, el presidente del Tribunal General anuló su orden anterior de 4 de septiembre de 2024, lo que significa que la revocación por parte de la Comisión Europea de la autorización condicional de comercialización de Ocaliva ha vuelto a entrar en vigor.