



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17. rujna 2021.
EMA/507929/2021
EMA/H/C/005551

Povlačenje zahtjeva za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Livmarli (maraliksibat klorid)

Tvrtka FGK Representative Service GmbH povukla je svoj zahtjev za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Livmarli za liječenje progresivne obiteljske intrahepatične kolestaze tipa 2 (PFIC2) u bolesnika u dobi od jedne godine i starijih.

Tvrtka je povukla svoj zahtjev 23. kolovoza 2021.

Što je Livmarli i za što se trebao koristiti?

Livmarli je razvijen kao lijek za liječenje progresivne obiteljske intrahepatične kolestaze tipa 2 (PFIC2) u bolesnika u dobi od jedne godine i starijih. PFIC2 je nasljedni poremećaj funkcije jetre u kojem se žučne kiseline nakupljaju u krvi i jetri te uzrokuju svrbež i oštećenje jetre. Te su žučne kiseline sastavni dio žuči, tekućine koju proizvodi jetra i koja se oslobađa u crijeva kako bi pomogla u probavi.

Livmarli sadrži djelatnu tvar maraliksibat klorid i trebao je biti dostupan kao otopina koja se uzima kroz usta.

Ovaj lijek uvršten je na popis lijekova za rijetke bolesti dana 16. siječnja 2014. za liječenje progresivne obiteljske intrahepatične kolestaze. Dodatne informacije o uvrštenju na popis lijekova za rijetke bolesti dostupne su na internetskim stranicama Agencije:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3131216>.

Kako djeluje Livmarli?

Očekuje se da će lijek smanjiti količinu žučnih kiselina u krvi i jetri. Smatra se da djelatna tvar u lijeku Livmarli, maraliksibat klorid, blokira djelovanje bjelančevine poznate kao ASBT, koja pomaže u prijenosu žučnih kiselina iz crijeva natrag u krv i jetru. Kada su bjelančevine ASBT blokirane, žučne kiseline se umjesto toga izlučuju iz tijela. Očekuje se da će se time smanjiti nakupljanje žučnih kiselina u krvi i jetri te tako smanjiti svrbež i oštećenje jetre u bolesnika s poremećajem PFIC2.

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



Što je tvrtka dostavila u prilog svom zahtjevu?

Tvrtka je predstavila rezultate jednog ispitivanja koje je obuhvatilo 25 bolesnika s poremećajem PFIC2 u dobi od jedne do 13 godina, a koji su liječeni lijekom Livmarli u trajanju do pet ili više godina. Glavno mjerilo učinkovitosti bilo je smanjenje razine žučnih kiselina u krvi nakon 13 tjedana liječenja. Lijek Livmarli nije uspoređen s drugim lijekovima ni s placebom (prividnim liječenjem).

U kojoj je fazi bila procjena zahtjeva kada je povučen?

Zahtjev je povučen nakon što je Europska agencija za lijekove procijenila inicijalne informacije koje je tvrtka dostavila i sastavila popis pitanja za tvrtku. U trenutku povlačenja tvrtka još nije bila dostavila svoje odgovore na pitanja.

Koja je bila preporuka Agencije u tom trenutku?

Na temelju pregleda podataka, u trenutku povlačenja Agencija je smatrala da postoje razlozi za zabrinutost te je njezino privremeno mišljenje bilo da nije moguće dati odobrenje za lijek Livmarli za liječenje poremećaja PFIC2.

Agencija je izrazila zabrinutost u pogledu učinkovitosti lijeka u liječenju poremećaja PFIC2 na temelju važnih nesigurnosti u pogledu dostupnih podataka. U pogledu učinkovitosti, ispitivanje nije pokazalo znatan učinak liječenja u bolesnika s poremećajem PFIC2 nakon 13 tjedana liječenja. Stoga nije bilo moguće donijeti zaključke o dugoročnoj učinkovitosti lijeka Livmarli u ciljnoj populaciji bolesnika. Agencija je izrazila zabrinutost i u pogledu određenih aspekata postupka proizvodnje i usklađenosti s dobrim proizvođačkim praksama.

Sukladno navedenome, Agencija je u vrijeme povlačenja smatrala kako koristi od lijeka Livmarli ne nadmašuju s njim povezane rizike.

Koje je razloge za povlačenje zahtjeva navela tvrtka?

U svojem [dopisu](#) kojim obavještava Agenciju o povlačenju zahtjeva tvrtka je navela da se odluka o povlačenju zahtjeva temelji na promjeni poslovnih i regulatornih strategija tvrtke nakon rasprave s CHMP-om i u očekivanju novih dodatnih podataka.

Ima li ovo povlačenje zahtjeva posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima?

Tvrtka je obavijestila Agenciju da nema posljedica za bolesnike koji su uključeni u klinička ispitivanja u kojima se koristi lijek Livmarli.

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju te vam je potrebno više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vas liječi.