



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## A Livmarli-ra (maralixibat-klorid) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

Az FGK Representative Service GmbH visszavonta az 1 éves és idősebb betegeknél a 2-es típusú progresszív familiáris intrahepatikus kolesztázis (PFIC2) kezelésére szánt Livmarli-ra vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelmét.

A vállalat 2021. augusztus 23-án vonta vissza a kérelmet.

### Milyen típusú gyógyszer a Livmarli és milyen alkalmazásra szánták?

A Livmarli-t 1 éves és idősebb betegeknél a progresszív PFIC2 kezelésére fejlesztették ki. A PFIC2 egy örökletes májbetegség, amelynek során epesav halmozódik fel a vérben és a májban, ami viszketést és májkárosodást okoz. Az epesav az epe alkotórésze, amely a máj által termelt és az emésztés elősegítésére a belekbe juttatott folyadék.

A Livmarli hatóanyaga a maralixibat-klorid, és szájon át alkalmazandó oldat formájában lett volna kapható.

Ezt a gyógyszert 2014. január 16-án a progresszív familiáris intrahepatikus kolesztázis kezelése tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ az Ügynökség honlapján található:

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

### Hogyan fejti ki hatását a Livmarli?

A gyógyszer várhatóan csökkenti az epesav mennyiségét a vérben és a májban. A Livmarli hatóanyaga, a maralixibat-klorid vélhetően gátolja az ASBT nevű fehérje hatását, amely elősegíti az epesav visszaszállítását a belekből a vérbe és a májba. Az ASBT fehérjék gátlásakor ehelyett az epesav kiürül a szervezetből. Ez várhatóan csökkenti az epesav felhalmozódását a vérben és a májban, és ezáltal mérsékli a PFIC2-ben szenvedő betegeknél megfigyelt viszketést és májkárosodást.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?**

A vállalat egyetlen vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyben 25, PFIC2-ben szenvedő, 1–13 éves beteg vett részt, akiket legfeljebb 5 évig vagy tovább Livmarli-val kezeltek. A hatásosság fő mutatója az epesav szintjének csökkenése volt a vérben 13 heti kezelést követően. A Livmarli-t nem hasonlították össze más gyógyszerekkel vagy placebóval (hatóanyag nélküli kezelés).

## **A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?**

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy az Európai Gyógyszerügynökség már értékelte a vállalat által eredetileg benyújtott információt, és kidolgozott egy kérdéslístát. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt a kérdésekre.

## **Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?**

A visszavonás időpontjában az adatok áttekintése alapján az Ügynökség részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Livmarli alkalmazása nem engedélyezhető a PFIC2 kezelésére.

A rendelkezésre álló adatokat érintő jelentős bizonytalanságok alapján az Ügynökség aggályai a gyógyszernek a PFIC2 kezelésében mutatott hatásosságával voltak kapcsolatosak. A hatásosság tekintetében a vizsgálat 13 hetes kezelést követően nem mutatott szignifikáns terápiás hatást a PFIC2-ben szenvedő betegeknél. Ezért nem lehetett következtetéseket levonni a Livmarli hosszú távú hatásosságára vonatkozóan a célpopulációban. Az Ügynökségnek aggályai voltak a gyártási folyamat egyes szempontjaival és a helyes gyártási gyakorlatnak való megfeleléssel kapcsolatban is.

Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség meglátása szerint a Livmarli előnyei nem haladták meg a kockázatokat.

## **Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?**

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy a kérelem visszavonására vonatkozó döntés a vállalat üzleti és szabályozási stratégiájának a CHMP-vel folytatott megbeszélést követő változásán alapult, a jövőbeli további adatokra készülve.

## **Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?**

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a visszavonásnak a Livmarli-val végzett klinikai vizsgálatokban részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.