



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2021 m. rugsėjo 17 d.
EMA/507929/2021
EMA/H/C/005551

Paraiškos gauti Livmarli (maraliksibato chloridas) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

Bendrovė „FGK Representative Service GmbH“ atsiėmė savo paraišką gauti Livmarli, skirtą 1 metų ir vyresnių pacientų, sergančių 2 tipo progresuojančia šeimine intrahepatine cholestaze (PFIC2), gydymui, registracijos pažymėjimą.

Bendrovė paraišką atsiėmė 2021 m. rugpjūčio 23 d.

Kas yra Livmarli ir kokiais atvejais buvo numatyta jį vartoti?

Livmarli buvo kuriamas kaip vaistas, skirtas 1 metų ir vyresniems pacientams, sergantiems progresuojančia PFIC2, gydyti. PFIC2 yra paveldimas kepenų sutrikimas, dėl kurio kraujyje ir kepenyse kaupiasi tulžies rūgštys ir sukelia niežėjimą bei pažeidžia kepenis. Šios tulžies rūgštys yra tulžies – kepenyse gaminamo skysčio, kuris išskiriamas į žarnyną virškinimui pagerinti – komponentas.

Livmarli sudėtyje yra veikliosios medžiagos maraliksibato chlorido ir jį buvo numatyta tiekti geriamojo tirpalo forma.

2014 m. sausio 16 d. šis vaistas priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal progresuojančios šeiminių intrahepatinės cholestazės gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite Agentūros tinklalapyje adresu: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3131216>.

Kaip veikia Livmarli?

Šis vaistas turėtų sumažinti tulžies rūgščių kiekį kraujyje ir kepenyse. Manoma, kad Livmarli veiklioji medžiaga maraliksibato chloridas slopina baltymo, vadinamo ASBT, kuris padeda tulžies rūgštis iš žarnyno pernešti atgal į kraują ir kepenis, veikimą. Slopinant ASBT baltymus, tulžies rūgštys yra pašalinamos iš organizmo. Dėl to turėtų sumažėti tulžies rūgščių kaupimasis kraujyje ir kepenyse, ir taip pat turėtų sumažėti PFIC2 sergantiems pacientams pasireiškiantis niežėjimas ir kepenų pažeidimas.



Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė vieno tyrimo, kuriame dalyvavo 25 1–13 metų PFIC2 sergantys pacientai, Livmarli gydyti 5 metus ar ilgiau, rezultatus. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo sumažėjęs tulžies rūgščių kiekis kraujyje po 13 gydymo savaitių. Livmarli nebuvo lyginamas su kitais vaistais ar placebo (preparatu be veikliosios medžiagos).

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai Europos vaistų agentūra buvo įvertinusi bendrovės pateiktą pirminę informaciją ir parengusi bendrovei skirtus klausimus. Paraiškos atsiėmimo metu bendrovė nebuvo atsakiusi į šiuos klausimus.

Kokia tuo metu buvo Agentūros rekomendacija?

Remdamasi peržiūrėtais duomenimis, paraiškos atsiėmimo metu Agentūra dar turėjo abejonių ir buvo priėmusi negalutinę nuomonę, kad Livmarli negali būti registruojamas PFIC2 gydymui.

Agentūra išreiškė abejones dėl vaisto veiksmingumo gydant PFIC2 remdamasi svarbiais neaiškumais dėl turimų duomenų. Veiksmingumo atžvilgiu, atlikus tyrimą po 13 gydymo savaitių reikšmingo gydymo poveikio PFIC2 sergantiems pacientams nenustatyta. Todėl buvo neįmanoma padaryti išvadų dėl ilgalaikio Livmarli veiksmingumo tikslinėje pacientų populiacijoje. Agentūra taip pat turėjo abejonių dėl kai kurių gamybos proceso aspektų ir gerosios gamybos praktikos laikymosi.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu Agentūra laikėsi nuomonės, kad Livmarli teikiama nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

[Laiške](#), kuriuo Agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė, kad sprendimas atsiimti paraišką buvo priimtas atsižvelgiant į pasikeitusias bendrovės veiklos ir reguliavimo strategijas po diskusijų su CHMP ir laukiant papildomų duomenų.

Ar šios paraiškos atsiėmimas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose?

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad šios paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose, kurių metu vartojamas Livmarli.

Jei dalyvaujate klinikiniame tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie jums taikomą gydymą, pasikalbėkite su savo klinikinio tyrimo gydytoju.