



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Livmarli (*maraliksibato chloridas*)

Livmarli apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Livmarli ir kam jis vartojamas?

Livmarli – tai vaistas, kuriuo gydomi 2 mėnesių ir vyresni pacientai, sergantys Alaželio (Alagille) sindromo sukeltu cholestaziniu niežėjimu (tulžies kaupimosi sukeltas stiprus niežėjimas). Jis taip pat skiriamas 3 mėnesių ir vyresniems pacientams, sergantiems progresuojančia šeimine intrahepatine cholestaze.

Alaželio sindromas ir progresuojanti šeiminė intrahepatinė cholestazė yra paveldimos ligos, kai tulžis (kepenyse susidarantis skystis, padedantis skaidyti riebalus) negali tinkamai nutekėti iš kepenų, todėl kepenyse ir kraujyje ima kauptis tulžies rūgštis. Vienas iš šio kaupimosi simptomų yra cholestazinis niežėjimas. Intrahepatinė cholestazė siejama su progresuojančiu kepenų pažeidimu ir gali sukelti cirozę bei galutinės stadijos kepenų funkcijos sutrikimą.

Šios ligos laikomos retomis, todėl Livmarli buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retųjų vaistų kategorijai galima rasti EMA interneto svetainėje ([Alaželio sindromas](#); [progresinė šeiminė intrahepatinė cholestazė](#)).

Livmarli sudėtyje yra veikliosios medžiagos maraliksibato chlorido.

Kaip vartoti Livmarli?

Gydymą Livmarli turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis kepenų ligų, pvz., Alaželio sindromo ir progresuojančios šeiminės intrahepatinės cholestazės, gydymo patirties. Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.

Gaminamas Livmarli geriamasis tirpalas. Vaisto dozė priklauso nuo gydomos ligos. Jeigu pacientui pasireiškia tam tikras šalutinis poveikis, vaisto dozę gali tekti sumažinti arba gydymą nutraukti. Jei per 3 mėnesius paciento būklė nepagerėja, gydytojas turi apsvarstyti galimybę skirti gydymą kitais vaistais.

Daugiau informacijos apie Livmarli vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.



Kaip veikia Livmarli?

Livmarli veiklioji medžiaga maraliksibato chloridas slopina baltymo, vadinamo apikaliniu nuo natrio priklausomu tulžies rūgščių nešikliu (ASBT), dar vadinamo klubinės žarnos tulžies rūgščių nešikliu (IBAT), kuris padeda tulžies rūgštis iš žarnyno pernešti atgal į kraują ir kepenis, veikimą. Slopindamas ASBT, šis vaistas sumažina iš žarnyno į kepenis pernešamos tulžies rūgšties kiekį. Taip tulžies rūgšties perteklius pašalinamas iš organizmo, sumažėja tulžies rūgšties kaupimasis ir palengvinami cholestazinio niežėjimo simptomai.

Kokia Livmarli nauda nustatyta tyrimų metu?

Alaželio sindromas

Livmarli nauda buvo vertinama atliekant du pagrindinius tyrimus. Atliekant pirmąjį tyrimą, 31 vaikas nuo 1 iki 18 metų, kuriems nustatytas Alaželio sindromas, 18 savaičių buvo gydomi Livmarli; po to buvo vertinamas jų atsakas į gydymą.

29 pacientams, kurių tulžies rūgščių kiekis kraujyje po pirminio 18 savaičių gydymo šiuo vaistu sumažėjo bent 50 proc., vėliau 4 savaites buvo skiriamas placebo (preparatas be veikliosios medžiagos) arba Livmarli. Iš rezultatų buvo matyti, kad pacientų, kurie 4 savaites tęsė gydymą Livmarli, organizme tulžies rūgšties kiekis išliko sumažėjęs, o pacientų, kurie pradėti gydyti placebo, organizme šios rūgšties kiekis smarkiai padidėjo. Po šio 4 savaičių laikotarpio visi pacientai vėl vartojo Livmarli. Placebą vartojusiems pacientams vėl skyrus Livmarli, rūgšties kiekis kraujyje sumažėjo iki ankstesnio lygio vartojant Livmarli. Tyrime taip pat nustatyta, kad, vartojant Livmarli, su liga susiję niežėjimo simptomai palengvėjo.

Atliekant antrąjį tyrimą su 8 vaikais nuo 2 mėnesių iki mažiau nei 1 metų, Livmarli nebuvo lyginamas su jokių kitų vaistų ar placebo. Tyrimo rezultatai parodė, kad po 13 gydymo savaičių su liga siejamo niežėjimo simptomai apskritai palengvėjo, o tulžies rūgščių kiekis kraujyje sumažėjo.

Progresuojanti šeiminė intrahepatinė cholestazė

Livmarli nauda buvo vertinama atliekant pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 93 1–15 metų vaikai, sergantys progresuojančia šeimine intrahepatine cholestaze. Pacientai 26 savaites vartojo Livmarli arba placebo, po to buvo vertinamas jų atsakas į gydymą. Iš rezultatų matyti, kad Livmarli vartojusių pacientų tulžies rūgšties kiekis kraujyje sumažėjo, o tulžies rūgšties kiekis placebo vartojusių pacientų kraujyje nepakito. Livmarli vartojusių pacientų patiriamas niežėjimas taip pat sumažėjo labiau, nei placebo vartojusių pacientų grupėje.

Kokia rizika susijusi su Livmarli vartojimu?

Išsamų visų Livmarli šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Alaželio sindromu sergantiems pacientams dažniausias Livmarli šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 5) yra viduriavimas ir pilvo skausmas. Sergant progresuojančia šeimine intrahepatine cholestaze viduriavimas gali pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 5, o pilvo skausmas – ne daugiau kaip 1 žmogui iš 10.

Kodėl Livmarli buvo registruotas ES?

Alaželio sindromas ir progresuojanti šeiminė intrahepatinė cholestazė yra gyvybei pavojingos ligos, kurių gydymo galimybių ribotos. Kadangi abi ligos yra labai retos, tyrimai buvo nedideli ir riboto pobūdžio, tačiau nustatyta, kad Livmarli veiksmingai mažina tulžies rūgšties kiekį pacientų, sergančių

progresuojančia šeimine intrahepatine cholestaze, kraujyje ir malšina simptomus, pvz., intensyvių niežulių. Nors duomenų apie Livmarli saugumą yra nedaug ir reikia surinkti daugiau duomenų, laikomasi nuomonės, kad šiuo metu nustatytas šalutinis poveikis yra priimtinas. Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Livmarli nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Livmarli registruotas išimtinėmis sąlygomis, nes dėl ligų retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie jį. Europos vaistų agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią santrauką.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Livmarli?

Kadangi Livmarli registruotas išimtinėmis sąlygomis, Livmarli prekiaujanti bendrovė kasmet teiks naujausią informaciją apie Livmarli saugumą ir veiksmingumą. Be to, bendrovė atliks tyrimą, kuriame išsamiau tirs ilgalaikį vaisto saugumą ir veiksmingumą gydant cholestazinį niežėjimą Alaželio sindromu ir progresuojančia šeimine intrahepatine cholestaze sergančių pacientų organizme, ir pateiks šio tyrimo rezultatus.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Livmarli vartojimą?

Livmarli prekiaujanti bendrovė gydytojams pateiks medžiagą, kuri padės paaiškinti pacientams, sergantiems progresuojančia šeimine intrahepatine cholestaze, kada ir kaip vartoti šį vaistą ir kokia turi būti jo dozė.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Livmarli vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Livmarli vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Livmarli šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Livmarli

Livmarli buvo registruotas išimtinėmis sąlygomis visoje ES 2022 m. gruodžio 9 d.

Daugiau informacijos apie Livmarli rasite Agentūros tinklalapyje adresu:
ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/livmarli.

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2024-07.