



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17 septembrie 2021
EMA/507929/2021
EMA/H/C/005551

Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Livmarli (clorură de maralixibat)

FGK Representative Service GmbH și-a retras cererea de autorizare de punere pe piață pentru Livmarli, pentru tratamentul colestazei intrahepatice familiale progresive de tip 2 (CIFP 2) la pacienți cu vârsta de 1 an și peste.

Compania și-a retras cererea în data de 23 august 2021.

Ce este Livmarli și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Livmarli a fost elaborat ca medicament pentru tratamentul CFIP 2 progresiv la pacienții cu vârsta de 1 an și peste. CIFP 2 este o tulburare hepatică ereditară în care acizii biliari se acumulează în sânge și în ficat și cauzează mâncărimi și afectare hepatică. Acești acizi biliari sunt componente ale bilei, un lichid produs de ficat și eliberat în intestine pentru a facilita digestia.

Livmarli conține substanța activă clorură de maralixibat și urma să fie disponibil sub formă de soluție care trebuia administrată oral.

Acest medicament a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la data de 16 ianuarie 2014 pentru tratamentul colestazei intrahepatice familiale progresive. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3131216>.

Cum acționează Livmarli?

Se așteaptă ca medicamentul să reducă cantitatea de acizi biliari din sânge și din ficat. Se consideră că substanța activă din Livmarli, clorura de maralixibat, blochează acțiunea unei proteine numite ASBT, care ajută la transportul acizilor biliari din intestine înapoi la sânge și ficat. Când proteinele ASBT sunt blocate, acizii biliari sunt în schimb excretați din organism. Se așteaptă ca acest lucru să reducă acumularea de acizi biliari în sânge și în ficat și, astfel, să reducă mâncărimea și afectarea ficatului observate la pacienții cu CIFP 2.

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



Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat rezultatele unui singur studiu care a cuprins 25 de pacienți cu CIFP 2, cu vârsta cuprinsă între 1 și 13 ani și care au fost tratați cu Livmarli timp de până la 5 ani sau mai mult. Principala măsură a eficacității a fost o scădere a valorii acizilor biliari din sânge după 13 săptămâni de tratament. Livmarli nu a fost comparat cu alte medicamente sau cu placebo (un preparat inactiv).

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce Agenția Europeană pentru Medicamente evaluase informațiile inițiale prezentate de companie și formulase întrebări pentru aceasta. În momentul retragerii cererii, compania nu răspunsese la întrebări.

Care a fost recomandarea Agenției în momentul respectiv?

Pe baza analizării datelor, în momentul retragerii cererii, Agenția avea unele motive de îngrijorare și a dat un aviz provizoriu potrivit căruia Livmarli nu putea fi aprobat pentru tratamentul CIFP 2.

Motivele de îngrijorare ale Agenției se refereau la eficacitatea medicamentului în tratamentul CIFP 2, pe baza unor incertitudini importante cu privire la datele disponibile. Din punct de vedere al eficacității, studiul nu a evidențiat un efect semnificativ al tratamentului la pacienții cu CIFP 2 după 13 săptămâni de tratament. Prin urmare, nu s-au putut trage concluzii cu privire la eficacitatea pe termen lung a Livmarli la populația de pacienți-țintă. Agenția a avut, de asemenea, motive de îngrijorare cu privire la unele aspecte ale procesului de fabricație și la conformitatea cu buna practică în fabricație.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia Agenției, beneficiile Livmarli nu depășeau riscurile asociate.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În [scrisoarea](#) prin care compania înștiințează Agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că decizia de retragere a cererii s-a bazat pe o modificare în strategiile comerciale și de reglementare ale companiei în urma discuțiilor cu CHMP și în așteptarea unor date suplimentare viitoare.

Retragerea acestei cereri afectează pacienții aflați în studii clinice?

Compania a informat Agenția că nu există consecințe pentru pacienții aflați în studii clinice cu Livmarli.

Dacă participați la un studiu clinic și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului din cadrul studiului clinic.