



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Livmarli (*clorură de maralixibat*)

Prezentare generală a Livmarli și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Livmarli și pentru ce se utilizează?

Livmarli este un medicament utilizat pentru tratarea pacienților cu vârsta de cel puțin 2 luni, cu prurit colestatic (mâncărime intensă cauzată de acumularea de bilă) cauzat de sindromul Alagille. De asemenea, se utilizează pentru tratarea pacienților cu vârsta de cel puțin 3 luni care au colestază intrahepatică familială progresivă.

Sindromul Alagille și colestaza intrahepatică familială progresivă sunt boli ereditare în care fierea (un lichid produs în ficat care ajută la descompunerea grăsimilor) nu se drenează în mod corespunzător din ficat, ducând la acumularea de acid biliar în ficat și sânge. Unul dintre simptomele acestei acumulări este pruritul colestatic. Colestaza intrahepatică este asociată cu leziuni progresive ale ficatului și poate duce la ciroză și insuficiență hepatică în stadiu terminal.

Aceste boli sunt rare, iar Livmarli a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare). Informații suplimentare cu privire la desemnările de medicamente orfane sunt disponibile pe site-ul EMA ([sindromul Alagille](#); [colestază intrahepatică familială progresivă](#)).

Livmarli conține substanța activă clorură de maralixibat.

Cum se utilizează Livmarli?

Tratamentul cu Livmarli trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în tratarea bolilor hepatice precum sindromul Alagille și colestaza intrahepatică familială progresivă. Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală.

Livmarli este disponibil sub formă de soluție care se administrează pe cale orală. Doza depinde de boala tratată. În cazul în care pacientul are anumite reacții adverse, poate fi necesară reducerea dozei sau întreruperea tratamentului. În cazul pacienților la care boala nu s-a ameliorat după 3 luni, medicul trebuie să ia în considerare un tratament alternativ.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Livmarli, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.



Cum acționează Livmarli?

Substanța activă din Livmarli, clorura de maralixibat, blochează acțiunea unei proteine numite transportor apical de acid biliar dependent de sodiu (ASBT), numit și transportor ileal de acid biliar (IBAT), care ajută la transportul acizilor biliari din intestin înapoi în sânge și ficat. Prin blocarea ASBT, medicamentul reduce cantitatea de acid biliar care este transportată din intestin în ficat. Acest lucru duce la eliminarea din organism a acidului biliar în exces, reducând astfel acumularea de acid biliar și ameliorând simptomele pruritului colestatic.

Ce beneficii a prezentat Livmarli pe parcursul studiilor?

Sindromul Alagille

Beneficiile Livmarli au fost evaluate în două studii principale. În primul studiu, 31 de copii cu vârsta între 1 și 18 ani cu sindrom Alagille au fost tratați cu Livmarli timp de 18 săptămâni, după care a fost evaluat răspunsul la tratament.

Cei 29 de pacienți la care valorile acizilor biliari din sânge au scăzut cu cel puțin 50 % după tratamentul inițial de 18 săptămâni cu acest medicament au primit ulterior fie placebo (un preparat inactiv), fie Livmarli, timp de 4 săptămâni. Rezultatele au arătat că, la pacienții care au continuat tratamentul cu Livmarli timp de 4 săptămâni, concentrația de acid biliar a continuat să scadă, în timp ce la cei care au trecut pe tratament cu placebo a crescut semnificativ. După această perioadă de 4 săptămâni, toți pacienții au primit din nou Livmarli. Când pacienții care au luat placebo au reluat tratamentul cu Livmarli, nivelurile lor din sânge s-au redus la nivelurile observate anterior cu Livmarli. Studiul a arătat, de asemenea, că tratamentul cu Livmarli a ameliorat simptomele de mâncărime asociate cu boala.

În al doilea studiu, care a cuprins 8 copii cu vârsta între 2 luni și mai puțin de 1 an, Livmarli nu a fost comparat cu niciun alt tratament sau placebo. După 13 săptămâni de tratament, rezultatele studiului au arătat ameliorarea simptomelor de mâncărime asociate cu boala și reducerea concentrației de acizi biliari în sânge la acești pacienți.

Colestază intrahepatică familială progresivă

Beneficiile Livmarli au fost evaluate într-un studiu principal care a cuprins 93 de copii cu vârsta între 1 și 15 ani cu colestază intrahepatică familială progresivă. Pacienții au primit Livmarli sau placebo timp de 26 săptămâni, după care a fost evaluat răspunsul lor la tratament. Rezultatele au arătat că pacienții tratați cu Livmarli au avut o scădere a concentrației de acid biliar în sânge, în timp ce la pacienții cărora li s-a administrat placebo concentrațiile de acid biliar nu s-au modificat. De asemenea, severitatea mâncărimilor a scăzut mai mult la pacienții care au primit Livmarli, comparativ cu placebo.

Care sunt riscurile asociate cu Livmarli?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Livmarli, citiți prospectul.

La pacienții cu sindrom Alagille, cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Livmarli (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 5) sunt diaree și dureri abdominale (de burtă). La pacienții cu colestază intrahepatică familială progresivă, diareea poate afecta mai mult de 1 persoană din 5 și poate apărea durere abdominală la cel mult 1 persoană din 10.

De ce a fost autorizat Livmarli în UE?

Sindromul Alagille și colestaza intrahepatică familială progresivă sunt boli care pun viața în pericol, cu opțiuni limitate de tratament. Întrucât ambele boli sunt foarte rare, studiile au fost mici și limitate, dar Livmarli s-a dovedit eficace în reducerea cantității de acid biliar din sângele pacienților cu colestază intrahepatică familială progresivă și în ameliorarea simptomelor, cum ar fi mâncărimea intensă, la pacienții cu oricare din cele două boli. Deși datele privind siguranța Livmarli sunt limitate și este necesar să se colecteze informații suplimentare, reacțiile adverse observate până în prezent sunt considerate acceptabile. Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Livmarli sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Livmarli a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre Livmarli. În fiecare an, Agenția Europeană pentru Medicamente va analiza informațiile nou apărute, iar această prezentare generală va fi actualizată, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Livmarli?

Având în vedere că Livmarli a fost autorizat în condiții excepționale, compania care comercializează Livmarli va furniza actualizări anuale cu privire la orice informații noi referitoare la siguranța și eficacitatea Livmarli. În plus, compania va efectua un studiu și va prezenta rezultatele lui pentru a caracteriza mai bine siguranța și eficacitatea pe termen lung ale medicamentului pentru tratamentul pruritului colestatic la pacienți cu sindrom Alagille și colestază intrahepatică familială progresivă.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Livmarli?

Compania care comercializează Livmarli va furniza medicilor materiale care îi vor ajuta să explice pacienților cu colestază intrahepatică familială progresivă când și cum să ia acest medicament și cât de mult să ia.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Livmarli, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Livmarli sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Livmarli sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Livmarli

Livmarli a primit autorizație de punere pe piață în condiții excepționale, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 9 decembrie 2022.

Mai multe informații despre Livmarli se pot găsi pe site-ul agenției:

ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/livmarli.

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 07-2024.