



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Livmarli (maralixibát chlorid)

Spoločnosť FGK Representative Service GmbH stiahla svoju žiadosť o povolenie na uvedenie na trh pre liek Livmarli na liečbu progresívnej familiárnej intrahepatálnej cholestázy typu 2 (PFIC2) u pacientov vo veku 1 rok a starších.

Spoločnosť svoju žiadosť stiahla 23. augusta 2021.

Čo je liek Livmarli a na čo sa mal používať?

Liek Livmarli bol vyvinutý ako liek na liečbu progresívnej formy PFIC2 u pacientov vo veku 1 roka a starších. PFIC2 je dedičné ochorenie pečene, pri ktorom sa žlčové kyseliny hromadia v krvi a pečeni a spôsobujú svrbenie a poškodenie pečene. Tieto žlčové kyseliny sú zložky žlče, tekutiny vytváranej v pečeni a uvoľnenej do čriev, čo pomáha pri trávení.

Liek Livmarli obsahuje liečivo maralixibát chlorid a mal byť dostupný vo forme roztoku na užívanie ústami.

Tento liek bol 16. januára 2014 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu progresívnej familiárnej intrahepatálnej cholestázy. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na ojedinelé ochorenia sa nachádza na webovom sídle agentúry: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3131216>.

Akým spôsobom liek Livmarli účinkuje?

Predpokladá sa, že liek znižuje množstvo žlčových kyselín v krvi a pečeni. Predpokladá sa, že liečivo lieku Livmarli, maralixibát chlorid, blokuje účinok proteínu známeho ako ASBT, ktorý pomáha prenášať žlčové kyseliny z čriev späť do krvi a pečene. Keď sú proteíny ASBT zablokované, žlčové kyseliny sa namiesto toho vylučujú z tela. Predpokladá sa, že sa tým zníži hromadenie žlčových kyselín v krvi a pečeni, a tým sa zníži svrbenie a poškodenie pečene pozorované u pacientov s PFIC2.



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky jednej štúdie, na ktorej sa zúčastnilo 25 pacientov s PFIC2 vo veku od 1 do 13 rokov liečených liekom Livmarli počas 5 rokov alebo dlhšie. Hlavným meradlom účinnosti bolo zníženie hladiny žlčových kyselín v krvi po 13 týždňoch liečby. Liek Livmarli sa neporovnával s inými liekmi ani s placebom (zdanlivým liekom).

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako Európska agentúra pre lieky vyhodnotila pôvodné informácie, ktoré spoločnosť predložila, a sformulovala zoznam otázok pre spoločnosť. Spoločnosť v čase stiahnutia žiadosti ešte neodpovedala na otázky.

Aké bolo v tom čase odporúčanie agentúry?

Na základe preskúmania údajov mala agentúra v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospela k predbežnému stanovisku, že liek Livmarli nemôže byť povolený na liečbu PFIC2.

Výhrady agentúry sa týkali účinnosti lieku pri liečbe PFIC2 na základe dôležitých nejasností týkajúcich sa dostupných údajov. Pokiaľ ide o účinnosť, v štúdiu sa nepreukázal významný účinok liečby u pacientov s PFIC2 po 13 týždňoch liečby. Preto nebolo možné vyvodiť závery o dlhodobej účinnosti lieku Livmarli v cieľovej populácii pacientov. Agentúra mala tiež obavy v súvislosti s niektorými aspektmi výrobného procesu a dodržiavaním správnej výrobnéj praxe.

Agentúra preto v čase stiahnutia žiadosti zastávala názor, že prínosy lieku Livmarli neprevyšujú jeho riziká.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že rozhodnutie stiahnuť žiadosť je založené na zmene v podnikových a regulačných stratégiách spoločnosti po diskusii s výborom CHMP a na očakávaní ďalších nadchádzajúcich údajov.

Má stiahnutie žiadosti vplyv na pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškaniach?

Spoločnosť informovala agentúru, že pre pacientov používajúcich liek Livmarli, ktorí sa v súčasnosti zúčastňujú na klinických skúškaniach, nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak ste účastníkom klinického skúšania a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.