



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Livmarli (*maralixibátium chlorid*)

Prehľad o lieku Livmarli a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Livmarli a na čo sa používa?

Livmarli je liek, ktorý sa používa na liečbu pacientov vo veku od 2 mesiacov s cholestatickým pruritom (intenzívne svrbenie v dôsledku nahromadenia žlče) zapríčinené Alagillovým syndrómom. Používa sa aj na liečbu pacientov vo veku od 3 mesiacov s progresívnou familiárnou intrahepatálnou cholestázou.

Alagillov syndróm a progresívna familiárna intrahepatálna cholestáza sú dedičné ochorenia, pri ktorých žlč (kvapalina vytvorená v pečeni, ktorá pomáha rozkladať tuky) nemôže riadne odtekať z pečene, čo vedie k hromadeniu žlčovej kyseliny v pečeni a krvi. Jedným z príznakov tohto hromadenia je cholestatický pruritus. Intrahepatálna cholestáza je spojená s progresívnym poškodením pečene a môže viesť k cirhóze a poruche funkcie pečene v konečnom štádiu.

Tieto ochorenia sú zriedkavé, a preto bol liek Livmarli označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia možno nájsť na webovej stránke EMA ([Alagillov syndróm](#); [progresívna familiárna intrahepatálna cholestáza](#)).

Liek Livmarli obsahuje liečivo maralixibátium chlorid.

Ako sa liek Livmarli používa?

Liečbu liekom Livmarli musí začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou ochorení pečene, ako je Alagillov syndróm a progresívna familiárna intrahepatálna cholestáza. Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Liek Livmarli je dostupný vo forme roztoku, ktorý sa užíva ústami. Dávka závisí od liečeného ochorenia. V prípade, že sa u pacienta vyskytnú určité vedľajšie účinky, možno bude potrebné dávku znížiť alebo liečbu prerušiť. V prípade pacientov, u ktorých sa nepreukáže zlepšenie po 3 mesiacoch, má lekár zvážiť alternatívnu liečbu.

Viac informácií o používaní lieku Livmarli si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Livmarli účinkuje?

Liečivo lieku Livmarli, maralixibát chlorid, blokuje účinok proteínu nazývaného apikálny transportér žlčových kyselín závislý od sodíka (ASBT), tiež známy ako ileálny transportér žlčových kyselín (IBAT),

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



ktorý pomáha prenášať žlčové kyseliny z čreva späť do krvi a pečene. Blokováním ASBT liek znižuje množstvo žlčovej kyseliny, ktorá sa prenáša z čreva do pečene. To vedie k odstráneniu nadbytočnej žlčovej kyseliny z tela, čím sa znižuje hromadenie žlčových kyselín a zmierňujú sa príznaky cholestatického pruritu.

Aké prínosy lieku Livmarli boli preukázané v štúdiách?

Alagillov syndróm

Prínosy lieku Livmarli sa hodnotili v dvoch hlavných štúdiách. V prvej štúdii bolo 31 detí vo veku od 1 do 18 rokov s Alagillovým syndrómom liečených liekom Livmarli počas 18 týždňov, po ktorých sa vyhodnotila ich odpoveď na liečbu.

29 pacientov, u ktorých sa po úvodnej 18-týždňovej liečbe týmto liekom znížila hladina žlčových kyselín v krvi najmenej o 50 %, bolo následne počas štyroch týždňov priradených na podávanie placebo (zdanlivého lieku) alebo lieku Livmarli. Z výsledkov vyplynulo, že u pacientov, ktorí pokračovali v liečbe liekom Livmarli počas štyroch týždňov, sa naďalej znížila hladina žlčových kyselín, zatiaľ čo u pacientov, ktorí prešli na liečbu placebo, sa zaznamenalo výrazné zvýšenie. Po tomto 4-týždňovom období všetci pacienti opäť dostávali liek Livmarli. Keď sa pacientom, ktorí užívali placebo, obnovila liečba liekom Livmarli, hladina žlčovej kyseliny v krvi sa znížila na hladinu, ktorá bola predtým pozorovaná pri podávaní lieku Livmarli. V štúdii sa tiež preukázalo, že liečba liekom Livmarli zlepšila príznaky svrbenia súvisiace s ochorením.

V druhej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 8 detí od veku dvoch mesiacov do menej ako jedného roka, sa liek Livmarli neporovnával so žiadnou inou liečbou ani s placebo. Z výsledkov štúdie vyplynulo, že po 13 týždňoch liečby nastalo u pacientov v priemere zlepšenie príznakov svrbenia spojených s ochorením a zníženie hladiny žlčových kyselín v krvi.

Progresívna familiárna intrahepatálna cholestáza

Prínosy lieku Livmarli boli hodnotené v hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 93 detí vo veku od 1 do 15 rokov s progresívnou familiárnou intrahepatálnou cholestázou. Pacienti dostávali liek Livmarli alebo placebo počas 26 týždňov, po uplynutí ktorých sa vyhodnotila ich odpoveď na liečbu. Z výsledkov vyplynulo, že u pacientov užívajúcich liek Livmarli sa znížila hladina žlčovej kyseliny v krvi, zatiaľ čo hladina žlčovej kyseliny sa nezmenila u pacientov, ktorí dostávali placebo. U pacientov, ktorí dostávali liek Livmarli, sa závažnosť svrbenia znížila tiež viac v porovnaní s pacientmi, ktorí dostávali placebo.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Livmarli?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Livmarli a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

U pacientov s Alagillovým syndrómom najčastejšie vedľajšie účinky lieku Livmarli (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 5) sú hnačka a abdominálna bolesť (bolesť brucha). U pacientov s progresívnou familiárnou intrahepatálnou cholestázou môže hnačka postihnúť viac ako 1 osobu z 5 a až u 1 osoby z 10 sa môže vyskytnúť bolesť brucha.

Prečo bol liek Livmarli povolený v EÚ?

Alagillov syndróm a progresívna familiárna intrahepatálna cholestáza sú život ohrozujúce ochorenia s obmedzenými možnosťami liečby. Keďže obe ochorenia sú veľmi zriedkavé, štúdie boli malé a podliehali obmedzeniam, preukázalo sa však, že liek Livmarli je účinný pri znižovaní množstva

žlčových kyselín v krvi pacientov s progresívnou familiárnou intrahepatálnou cholestázou a pri zlepšovaní príznakov, ako je intenzívne svrbenie, u pacientov s obidvomi ochoreniami. Aj keď sú údaje o bezpečnosti lieku Livmarli obmedzené a je potrebné zhromaždiť ďalšie údaje, pozorované vedľajšie účinky sa považujú za prijateľné. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Livmarli sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Liek Livmarli bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Livmarli. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Aké informácie o lieku Livmarli dosiaľ neboli predložené?

Keďže liek Livmarli bol povolený za mimoriadnych okolností, spoločnosť, ktorá liek Livmarli uvádza na trh, každoročne predloží aktualizovanú verziu so všetkými novými informáciami týkajúcimi sa bezpečnosti a účinnosti lieku Livmarli. Spoločnosť okrem toho uskutoční štúdiu na ďalšie charakterizovanie dlhodobej bezpečnosti a účinnosti lieku na liečbu cholestatického svrbenia u pacientov s Alagillovým syndrómom a progresívnou familiárnou intrahepatálnou cholestázou a predloží jej výsledky.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Livmarli?

Spoločnosť, ktorá liek Livmarli uvádza na trh, poskytne lekárom materiály, ktoré im pomôžu vysvetliť pacientom s progresívnou familiárnou intrahepatálnou cholestázou, kedy a ako užívať tento liek a aké množstvo musia užívať.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Livmarli boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Livmarli sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Livmarli sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Livmarli

Lieku Livmarli bolo 9. decembra 2022 za mimoriadnych okolností udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Livmarli sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

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

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 07-2024