



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Livmarli (maraliksibat klorid)

Podjetje FGK Representative Service GmbH je umaknilo svojo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Livmarli za zdravljenje progresivne družinske intrahepatične holestaze tipa 2 (PFIC2) pri bolnikih, starih eno leto ali več.

Podjetje je vlogo umaknilo 23. avgusta 2021.

Kaj je zdravilo Livmarli in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Livmarli je bilo zasnovano kot zdravilo za zdravljenje PFIC2 pri bolnikih, starih eno leto ali več. PFIC2 je dedna bolezen jeter, pri kateri se žolčne kisline kopičijo v krvi in jetrih ter povzročajo srbenje in okvaro jeter. Te žolčne kisline so sestavine žolča, tj. tekočine, ki se tvori v jetrih in izloča v črevesje, kjer pomaga pri prebavi.

Zdravilo Livmarli vsebuje učinkovino maraliksibat klorid in naj bi bilo na voljo v obliki raztopine za peroralno uporabo.

To zdravilo je bilo 16. januarja 2014 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje progresivne družinske intrahepatične holestaze. Več informacij o določitvi zdravila sirote je voljo na spletišču agencije:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3131216>.

Kako zdravilo Livmarli deluje?

Zdravilo naj bi zmanjšalo količino žolčnih kislin v krvi in jetrih. Učinkovina v zdravilu Livmarli, maraliksibat klorid, naj bi zavirala delovanje beljakovine, imenovane ASBT, ki pomaga pri prehajanju žolčne kisline iz črevesja nazaj v kri in jetra. Če je delovanje beljakovin ASBT zavrto, se žolčne kisline namesto tega izločijo iz telesa. To naj bi zmanjšalo kopičenje žolčnih kislin v krvi in jetrih ter posledično srbenje in okvaro jeter pri bolnikih s PFIC2.



Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predložilo rezultate ene same študije, ki je vključevala 25 bolnikov s PFIC2, starih od enega do 13 let, ki so se z zdravilom Livmarli zdravili vsaj pet let ali več. Glavno merilo učinkovitosti je bilo znižanje ravni žolčnih kislin v krvi po 13 tednih zdravljenja. Zdravila Livmarli niso primerjali z drugimi zdravili ali placebom (zdravilom brez učinkovine).

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je Evropska agencija za zdravila že ocenila začetno dokumentacijo, ki jo je predložilo podjetje, in oblikovala seznam vprašanj. Podjetje ob umiku vloge še ni odgovorilo na zastavljena vprašanja.

Kakšno je bilo takrat priporočilo agencije?

Agencija je na podlagi pregleda podatkov ob umiku vloge izrazila določene zadržke in je začasno menila, da zdravila Livmarli ni mogoče odobriti za zdravljenje PFIC2.

Na podlagi pomembnih negotovosti glede razpoložljivih podatkov je izrazila pomisleke o učinkovitosti zdravila pri zdravljenju PFIC2. Kar zadeva učinkovitost, študija ni pokazala pomembnega učinka zdravljenja pri bolnikih s PFIC2 po 13 tednih zdravljenja. Zato ni bilo mogoče oblikovati zaključkov o dolgoročni učinkovitosti zdravila Livmarli v ciljni populaciji bolnikov. Imela je tudi pomisleke glede nekaterih vidikov proizvodnega postopka in skladnosti z dobro proizvodno prakso.

Zato je ob umiku vloge menila, da koristi zdravila Livmarli ne odtehtajo z njim povezanih tveganj.

Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?

Podjetje je v [dopisu](#), s katerim je agencijo obvestilo o umiku vloge, navedlo, da odločitev o umiku vloge temelji na spremembi poslovnih in regulativnih strategij podjetja, ki je bila sprejeta po razpravi z odborom CHMP, in da pričakuje dodatne podatke v prihodnosti.

Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih?

Podjetje je agencijo obvestilo, da umik vloge nima nobenih posledic za bolnike, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih z zdravilom Livmarli.

Če ste vključeni v klinično preskušanje in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki sodeluje v kliničnem preskušanju.