



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Livmarli (*maraliksibat klorid*)

Pregled zdravila Livmarli in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Livmarli in za kaj se uporablja?

Livmarli je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje bolnikov, starejših od dveh mesecev, s holestatskim pruritisom (intenzivnim srbenjem zaradi kopičenja žolča), ki ga povzroča Alagillov sindrom. Uporablja se tudi za zdravljenje bolnikov, starejših od treh mesecev, s progresivno družinsko intrahepatičnoolestazo.

Alagillov sindrom in progresivna družinska intrahepatičnaolestaza sta dedni bolezni, pri katerih se žolč (tekočina, ki nastaja v jetrih in pomaga pri razgradnji maščob) ne odvaža ustrezno iz jeter, kar privede do kopičenja žolčne kisline v jetrih in krvi. Eden od simptomov tega kopičenja je holestatski pruritis. Intrahepatičnaolestaza je povezana s progresivno okvaro jeter ter lahko povzroči cirozo in končno jetrno odpoved.

Ti bolezni sta redki, zato je bilo zdravilo Livmarli določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o določitvah zdravil sirote so na voljo na spletni strani agencije EMA ([Alagillov sindrom](#); [progresivna družinska intrahepatičnaolestaza](#)).

Zdravilo Livmarli vsebuje učinkovino maraliksibat klorid.

Kako se zdravilo Livmarli uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Livmarli mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolezni jeter, kot sta Alagillov sindrom in progresivna družinska intrahepatičnaolestaza.

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept.

Zdravilo Livmarli je na voljo v obliki raztopine, ki se jemlje peroralno. Odmerek je odvisen od bolezni, ki se zdravi. Če se pri bolniku pojavijo določeni neželeni učinki, bo morda treba odmerek zmanjšati ali prekiniti zdravljenje. Pri bolnikih, pri katerih po treh mesecih ni opaziti izboljšanja, mora zdravnik razmisliti o alternativnem zdravljenju.

Za več informacij glede uporabe zdravila Livmarli glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.



Kako zdravilo Livmarli deluje?

Učinkovina v zdravilu Livmarli, maraliksibat klorid, zavira delovanje beljakovine, imenovane apikalni od natrija odvisni prenašalec žolčne kisline (ASBT), znan tudi kot prenašalec žolčnih kislin v ileumu (IBAT), ki pomaga pri transportu žolčnih kislin iz črevesja nazaj v kri in jetra. Zdravilo Livmarli z zaviranjem ASBT zmanjša količino žolčne kisline, ki se prenaša iz črevesja v jetra. To pripomore k odstranjevanju odvečne žolčne kisline iz telesa, s čimer se zmanjša njeno kopičenje in ublažijo simptomi holestatskega pruritisa.

Kakšne koristi zdravila Livmarli so se pokazale v študijah?

Alagillov sindrom

Koristi zdravila Livmarli so bile ocenjene v dveh glavnih študijah. V prvi študiji so 31 otrok z Alagillovim sindromom, starih od enega do 18 let, 18 tednov zdravili z zdravilom Livmarli, nato pa ocenili njihov odziv na zdravljenje.

29 bolnikov, pri katerih so se po začetnem 18-tedenskem zdravljenju z zdravilom Livmarli ravni žolčnih kislin v krvi znižale za vsaj 50 %, je nato štiri tedne prejelo bodisi placebo (zdravilo brez učinkovine) bodisi zdravilo Livmarli. Rezultati so pokazali, da je bila pri bolnikih, ki so štiri tedne nadaljevali zdravljenje z zdravilom Livmarli, raven žolčne kisline še vedno znižana, pri bolnikih, ki so prešli na zdravljenje s placebom, pa se je znatno zvišala. Po tem štiritedenskem obdobju so vsi bolniki ponovno začeli prejemati zdravilo Livmarli. Ko so bolniki, ki so prejeli placebo, ponovno prešli na zdravljenje z zdravilom Livmarli, so se njihove ravni žolčne kisline v krvi znižale na ravni, ki so jih predhodno opazili pri zdravljenju z zdravilom Livmarli. Študija je prav tako pokazala, da je zdravljenje z zdravilom Livmarli izboljšalo simptome srbenja, povezane z boleznijo.

V drugi študiji, v katero je bilo vključenih osem otrok, starih od dva meseca do manj kot eno leto, zdravila Livmarli niso primerjali z nobenim drugim zdravilom ali placebom. Rezultati študije so pokazali, da so se po 13 tednih zdravljenja v povprečju izboljšali simptomi srbenja, povezani z boleznijo, in znižala raven žolčnih kislin v krvi.

Progresivna družinska intrahepatična holestaza

Koristi zdravila Livmarli so ocenjevali v glavni študiji, v katero je bilo vključenih 93 otrok, starih od 1 do 15 let, s progresivno družinsko intrahepatično holestazo. Bolniki so 26 tednov prejeli zdravilo Livmarli ali placebo, nato pa je bil ocenjen njihov odziv na zdravljenje. Rezultati so pokazali, da se je pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Livmarli, raven žolčne kisline v krvi znižala, medtem ko se raven žolčne kisline pri bolnikih, ki so prejeli placebo, ni spremenila. Tudi resnost srbenja, ki so jo doživeli bolniki, se je bolj zmanjšala pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Livmarli, v primerjavi s placebom.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Livmarli?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Livmarli glejte navodilo za uporabo.

Pri bolnikih z Alagillovim sindromom so najpogostejši neželeni učinki zdravila Livmarli (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 5 bolnikov) driska in bolečine v trebuhu. Pri bolnikih s progresivno družinsko intrahepatično holestazo se lahko driska pojavi pri več kot 1 od 5 bolnikov, bolečine v trebuhu pa se lahko pojavijo pri največ 1 od 10 oseb.

Zakaj je bilo zdravilo Livmarli odobreno v EU?

Alagillov sindrom in progresivna družinska intrahepatična holestaza sta življenjsko nevarni bolezni z omejenimi možnostmi zdravljenja. Ker sta obe bolezni zelo redki, sta bili študiji majhni in podvrženi omejitvam, vendar se je zdravilo Livmarli izkazalo za učinkovito pri zmanjševanju količine žolčne kisline v krvi pri bolnikih s progresivno družinsko intrahepatično holestazo in izboljšanjem simptomov, kot je močno srbenje, pri bolnikih s katero koli od obeh bolezni. Čeprav so podatki o varnosti zdravila Livmarli omejeni in je treba zbrati dodatne informacije, so doslej opaženi neželeni učinki sprejemljivi. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Livmarli večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Livmarli je pridobilo dovoljenje za promet „v izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh podatkov o zdravilu. Evropska agencija za zdravila bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo. Če bo potrebno, bo posodobljen tudi ta povzetek.

Katere informacije o zdravilu Livmarli še pričakujemo?

Ker je zdravilo Livmarli pridobilo dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah, bo podjetje, ki ga trži, vsako leto predložilo posodobljene informacije o varnosti in učinkovitosti tega zdravila. Poleg tega bo podjetje izvedlo in predložilo rezultate študije za nadaljnjo opredelitev dolgoročne varnosti in učinkovitosti zdravila za zdravljenje holestatskega pruritusa pri bolnikih z Alagillovim sindromom in progresivno družinsko intrahepatično holestazo.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Livmarli?

Podjetje, ki trži zdravilo Livmarli, bo zdravnikom priskrbelo gradivo, ki jim bo pomagalo pri pojasnjevanju bolnikom s progresivno družinsko intrahepatično holestazo, kdaj in kako jemati to zdravilo ter koliko ga je treba vzeti.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Livmarli upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Livmarli stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Livmarli, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Livmarli

Za zdravilo Livmarli je bilo 9. decembra 2022 izdano dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Livmarli so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/livmarli.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 07–2024.