



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Livmarli (maralixibatklorid)

FGK Representative Service GmbH återkallade sin ansökan om godkännande för försäljning av Livmarli för behandling av progressiv familjär intrahepatisk kolestas typ 2 (PFIC2) hos patienter från 1 års ålder.

Företaget återkallade sin ansökan den 23 augusti 2021.

Vad är Livmarli och vad skulle det användas för?

Livmarli togs fram som ett läkemedel för behandling av progressiv PFIC2 hos patienter från 1 års ålder. PFIC2 är en ärftlig leversjukdom där gallsyror ansamlas i blodet och levern och orsakar klåda och leverskada. Dessa gallsyror är beståndsdelar i gallan, en vätska som bildas i levern och frisätts i tarmarna för att underlätta matsmältningen.

Livmarli innehåller den aktiva substansen maralixibatklorid och skulle finnas som en lösning som skulle tas genom munnen.

Livmarli klassificerades den 16 januari 2014 som ett sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid behandling av progressiv familjär intrahepatisk kolestas. Mer information om klassificeringen som sär-läkemedel finns på EMA:s webbplats:

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

Hur verkar Livmarli?

Läkemedlet förväntas minska mängden gallsyror i blodet och i levern. Den aktiva substansen i Livmarli, maralixibatklorid, antas blockera verkan av ett protein som kallas ASBT och som hjälper till att transportera gallsyror från tarmarna tillbaka till blodet och levern. När ASBT-proteiner blockeras utsöndras gallsyrorna i stället ut ur kroppen. Detta förväntas minska ackumuleringen av gallsyror i blodet och levern, och därmed minska klådan och leverskadan som ses hos patienter med PFIC2.

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



Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget lade fram resultaten från en enda studie på 25 patienter med PFIC2 som var 1–13 år gamla och behandlades med Livmarli i upp till 5 år eller längre. Huvudeffekt måttet var en minskning av halten av gallsyror i blodet efter 13 veckors behandling. Livmarli jämfördes inte med andra läkemedel eller placebo (overksam behandling).

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) hade utvärderat den ursprungliga informationen från företaget och sammanställt en frågelista. Vid tidpunkten för återkallandet hade företaget ännu inte besvarat frågorna.

Vad rekommenderade EMA vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna hyste EMA vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Livmarli inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av PFIC2.

EMA:s betänkligheter gällde läkemedlets effekt vid behandling av PFIC2, baserat på viktiga osäkerhetsfaktorer avseende de tillgängliga uppgifterna. Vad gäller effekt visade inte studien någon signifikant behandlingseffekt hos patienter med PFIC2 efter 13 veckors behandling. Det var därför inte möjligt att dra några slutsatser om Livmarlis långsiktiga effekt hos målpatientpopulationen. EMA hyste också betänkligheter om vissa aspekter av tillverkningsprocessen och efterlevnaden av god tillverkningssed.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför EMA att nytta med Livmarli inte övervägde riskerna.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I [skrivelsen](#) till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att beslutet att återkalla ansökan byggde på en ändring av företagets affärs- och tillsynsstrategier efter diskussion med kommittén för humanläkemedel och i väntan på kommande ytterligare data.

Påverkar detta återkallande patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade myndigheten om att återkallandet inte får några följder för patienter som deltar i kliniska prövningar med Livmarli.

Om du deltar i en klinisk prövning och behöver mer information om din behandling kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.