



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/96192/2018
EMA/H/C/004093

Ocaliva (*obeticholsyra*)

Sammanfattning av Ocaliva och varför det är godkänt i EU

Vad är Ocaliva och vad används det för?

Ocaliva används för att behandla vuxna med en leversjukdom som kallas primär biliär kolangit.

Primär biliär kolangit är ett autoimmunt tillstånd där de små gallgångarna i levern gradvis förstörs. Dessa gallgångar transporterar en vätska som kallas galla från levern till tarmarna, där vätskan hjälper till att bryta ner fett. Som en följd av skadan på gallgångarna ansamlas gallan i levern, där den skadar levervävnaden. Detta kan leda till ärrbildning och leversvikt och kan öka risken för levercancer.

Ocaliva innehåller den aktiva substansen obeticholsyra. Det ges tillsammans med ett annat läkemedel, ursodeoxicholsyra (UDCA), till patienter som inte svarar tillräckligt på enbart UDCA, och som enda läkemedel till patienter som inte kan ta UDCA.

Primär biliär kolangit är sällsynt och Ocaliva klassificerades som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 27 juli 2010. Mer information om klassificeringen som sär-läkemedel finns här: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Hur används Ocaliva?

Ocaliva finns som tabletter (5 mg och 10 mg) och läkemedlet är receptbelagt. Den rekommenderade startdosen är 5 mg en gång om dagen eller 5 mg en gång i veckan beroende på hur mycket patientens leverfunktion är nedsatt (som ska fastställas innan behandlingen med Ocaliva inleds). Efter några månader kan dosen ökas om Ocaliva tolereras väl. Doserna kan sänkas eller behandlingen kan behöva avbrytas hos patienter som får svår klåda (en möjlig biverkning av Ocaliva).

För mer information om hur du använder Ocaliva, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Ocaliva?

Den aktiva substansen i Ocaliva, obeticholsyra, är en modifierad form av en gallsyra (gallans huvudkomponenter). Den verkar främst genom att fästa vid receptorer i levern och tarmen



(farnesoid X-receptorer) som styr bildandet av galla. Genom att fästa vid dessa receptorer minskar Ocaliva bildandet av galla i levern och hindrar att gallan ansamlas och skadar levervävnaden.

Vilken nytta med Ocaliva har visats i studierna?

Ocaliva jämfördes med placebo (overksam behandling) i en huvudstudie som omfattade 217 vuxna med primär biliär kolangit som antingen hade tagit UDCA i minst ett år eller inte kunde ta UDCA. Effektmåttet baserades på antalet patienter vars nivåer av ämnena bilirubin och ALP i blodet (markörer för leverskada) minskade med minst 15 procent (för ALP) och under ett visst värde som ansågs normalt (för bilirubin) efter ett års behandling.

Studien visade att Ocaliva var effektivare än placebo när det gällde att sänka nivåerna av bilirubin och ALP i blodet: nivåerna sjönk med den föreskrivna mängden hos 47 procent (34 av 73) av patienterna som behandlades med Ocaliva 10 mg och hos 46 procent (32 av 70) av patienterna som fick ökande doser av Ocaliva (från 5 mg upp till 10 mg), jämfört med 10 procent (7 av 73) av patienterna som fick placebo.

Vilka är riskerna med Ocaliva?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Ocaliva är klåda (kan uppträda hos fler än 6 av 10 personer) och trötthet (kan uppträda hos fler än 2 av 10 personer). Klåda är också den vanligaste biverkning som kan leda till avbruten behandling. I de flesta fall uppstod klådan inom den första behandlingsmånaden och tenderade att försvinna med tiden under fortsatt behandling. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Ocaliva finns i bipacksedeln.

Ocaliva får inte ges till de patienter vars gallgångar är fullständigt blockerade. En fullständig förteckning över restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför är Ocaliva godkänt i EU?

Patienter med primär biliär kolangit har begränsade behandlingsalternativ. Ocaliva har visat sig sänka nivåerna av bilirubin och ALP i blodet hos patienter med primär biliär kolangit, inräknat dem som inte kunde behandlas med UDCA. Sänkningen av bilirubin och ALP skedde i en omfattning som visar på förbättring av leverns tillstånd. Den kliniska nyttan med Ocaliva behöver dock visas i ytterligare studier. Läkemedlets säkerhetsprofil ansågs vara gynnsam, med biverkningar som kunde tolereras och hanteras med understödande behandling (t.ex. för klåda) och dosjusteringar. Europeiska läkemedelsmyndigheten fann att fördelarna med Ocaliva är större än riskerna och att Ocaliva skulle godkännas för försäljning i EU.

Ocaliva har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande". Detta innebär att det ska inkomma ytterligare evidens för detta läkemedel och att företaget är skyldigt att lämna dessa uppgifter. Europeiska läkemedelsmyndigheten kommer att granska ny information om produkten varje år och uppdatera denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Ocaliva saknas för närvarande?

Eftersom Ocaliva har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande" ska företaget som marknadsför Ocaliva lämna ytterligare data från två studier för att bekräfta läkemedlets effekt och säkerhet. Den första studien är utformad för att påvisa den kliniska nyttan med Ocaliva, medan den andra studien kommer att undersöka nyttan med Ocaliva hos patienter med måttlig till allvarlig leversjukdom.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Ocaliva?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Ocaliva har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för läkemedlet kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Ocaliva utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder för att skydda patienter vidtas.

Mer information om Ocaliva

Den 12 december 2016 beviljades Ocaliva ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Ocaliva finns på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 03-2018.

Läkemedlet är inte längre godkänt för försäljning