



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/936360/2022
EMA/H/C/005857

Livmarli (maralixibatchlorid)

En oversigt over Livmarli, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Livmarli, og hvad anvendes det til?

Livmarli er et lægemiddel, der anvendes til behandling af patienter på 2 måneder og derover med kolestatisk pruritis (intens kløe som følge af ophobning af galdesyre), som skyldes Alagville-syndrom.

Alagville-syndrom er en arvelig sygdom, hvor galde (en væske, der produceres i leveren, og som er med til at nedbryde fedtstoffer) ikke kan løbe rigtigt ud af leveren, hvilket medfører ophobning af galdesyre i leveren og blodet. Et af symptomerne på denne ophobning er kolestatisk pruritis.

Alagville-syndrom er sjælden, og Livmarli blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 18. december 2013. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-13-1214>.

Livmarli indeholder det aktive stof maralixibatchlorid.

Hvordan anvendes Livmarli?

Behandling med Livmarli skal indledes og overvåges af en læge, der har erfaring med behandling af leversygdomme som f.eks. Alagville-syndrom. Lægemidlet fås kun på recept.

Livmarli fås som en opløsning, der tages gennem munden. Dosen afhænger af patientens legemsvægt og gives én gang dagligt. Behandlingen indledes med en lav dosis, som lægen vil øge efter en uge. Det kan være nødvendigt at nedsætte dosis eller afbryde behandlingen af patienter, som får bestemte bivirkninger. Hos patienter, der ikke viser bedring efter 3 måneder, bør lægen overveje en anden behandling.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Livmarli, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Livmarli?

Det aktive stof i Livmarli, maralixibatchlorid, blokerer virkningen af proteinet apikal natriumafhængig galdesyretransportør (ASBT), også kaldet ileal galdesyretransportør (IBAT), som er med til at transportere galdesyre fra tarmen tilbage til blodet og leveren. Ved at blokere ASBT reducerer lægemidlet mængden af galdesyre, der transporteres fra tarmen til leveren. Dette medfører, at

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



overskydende galdesyre fjernes fra kroppen, hvorved ophobningen af galdesyre reduceres, og symptomerne på kolestatisk pruritis mindskes.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Livmarli?

Fordelene ved Livmarli blev vurderet i to hovedstudier. I det første studie blev 31 børn i alderen 1-18 år med Alagville-syndrom behandlet med Livmarli i 18 uger, hvorefter deres respons på behandlingen blev evalueret.

De 29 patienter, der oplevede et fald i indholdet af galdesyre i blodet på mindst 50 % efter den indledende 18-ugers behandling med lægemidlet, fik efterfølgende enten placebo (en uvirksom behandling) eller Livmarli i 4 uger. Resultaterne viste, at de patienter, der fortsatte behandlingen med Livmarli i 4 uger, stadig oplevede et fald i indholdet af galdesyre, mens de patienter, der skiftede behandling til placebo, oplevede væsentlige stigninger. Efter denne periode på 4 uger fik alle patienter Livmarli igen. Når de patienter, der fik placebo, genoptog behandlingen med Livmarli, faldt indholdet i blodet til det niveau, der tidligere var observeret med Livmarli. Studiet viste også, at behandling med Livmarli forbedrede symptomerne på kløe forbundet med sygdommen.

I det andet studie, der omfattede 8 børn i alderen 2 måneder til under 1 år, blev Livmarli ikke sammenlignet med nogen anden behandling eller placebo. Resultaterne af studiet viste, at patienterne efter 13 ugers behandling i gennemsnit havde færre symptomer på kløe forbundet med sygdommen og et lavere indhold af galdesyre i blodet.

Hvilke risici er der forbundet med Livmarli?

De hyppigste bivirkninger ved Livmarli (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er diarré og mavesmerter.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Livmarli fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor er Livmarli godkendt i EU?

Alagille er en livstruende sygdom. På tidspunktet for godkendelsen af Livmarli var der ingen anden godkendt behandling for denne sygdom. Da det er en meget sjælden sygdom, var studierne små og underlagt begrænsninger, men Livmarli viste sig at være effektivt til at reducere mængden af galdesyre i blodet hos patienter med sygdommen og til at forbedre de symptomer, der er forbundet hermed, såsom kraftig kløe. Selv om dataene om sikkerheden ved Livmarli er begrænsede, og der skal indsamles yderligere data, anses de bivirkninger, der er set indtil nu, for at være håndterbare. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Livmarli opvejer risiciene, og det kan godkendes til anvendelse i EU.

Livmarli er godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Livmarli, fordi sygdommen er sjælden. Hvert år gennemgår Det Europæiske Lægemiddelagentur alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt denne oversigt.

Hvilke oplysninger afventes der stadig for Livmarli?

Da Livmarli er godkendt under særlige omstændigheder, vil virksomheden, der markedsfører Livmarli, hvert år fremlægge opdateringer om nye oplysninger om sikkerheden ved og virkningen af Livmarli. Virksomheden skal desuden gennemføre og indsende resultaterne af et studie for yderligere at redegøre for lægemidlets sikkerhed og virkning på lang sigt ved behandling af kolestatisk pruritis.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Livmarli?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Livmarli.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Livmarli løbende overvåget. Formodede bivirkninger ved Livmarli vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Livmarli

Yderligere information om Livmarli findes på agenturets websted under:

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