



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/936367/2022
EMA/H/C/005857

Livmarli (maraliksibatklorid)

Pregled informacija o lijeku Livmarli i zašto je odobren u EU-u

Što je Livmarli i za što se koristi?

Livmarli je lijek koji se koristi za liječenje bolesnika u dobi od dva mjeseca i starijih s kolestatskim svrbežom (intenzivnim svrbežom uzrokovanim nakupljanjem žuči) uzrokovanim Alagilleovim sindromom.

Alagilleov sindrom nasljedna je bolest kod koje se žuč (tekućina koja se proizvodi u jetri i koja pomaže u razgradnji masti) ne može pravilno izlučiti iz jetre, što rezultira nakupljanjem žučne kiseline u jetri i krvi. Jedan od simptoma tog nakupljanja je kolestatski svrbež.

Alagilleov sindrom je rijedak, a lijek Livmarli dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 18. prosinca 2013. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-13-1214>.

Livmarli sadrži djelatnu tvar maraliksibatklorid.

Kako se lijek Livmarli primjenjuje?

Liječenje lijekom Livmarli mora započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju bolesti jetre kao što je Alagilleov sindrom. Lijek se izdaje samo na recept.

Lijek Livmarli dostupan je kao otopina koja se uzima kroz usta. Doza lijeka ovisi o tjelesnoj težini bolesnika i daje se jedanput na dan. Liječenje započinje malom dozom koju će liječnik povećati nakon tjedan dana. U slučaju da se u bolesnika razviju određene nuspojave, dozu će možda biti potrebno smanjiti ili liječenje privremeno prekinuti. U bolesnika kod kojih nije došlo do poboljšanja nakon tri mjeseca liječnik treba razmotriti alternativnu terapiju.

Za više informacija o primjeni lijeka Livmarli pročitajte uputu o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Livmarli?

Djelatna tvar u lijeku Livmarli, maraliksibatklorid, blokira djelovanje proteina koji se naziva apikalni prijenosnik žučne kiseline ovisan o natriju (ASBT), također poznat kao ilealni prijenosnik žučne kiseline (IBAT), koji pomaže u prijenosu žučnih kiselina iz crijeva natrag u krv i jetru. Blokiranjem ASBT-a lijek smanjuje količinu žučne kiseline koja se iz crijeva prenosi u jetru. To dovodi do uklanjanja viška žučne

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



kiseline iz tijela, čime se smanjuje nakupljanje žučne kiseline i ublažavaju simptomi kolestatskog svrbeža.

Koje su koristi od lijeka Livmarli utvrđene u ispitivanjima?

Koristi od lijeka Livmarli procijenjene su u dvama glavnim ispitivanjima. U prvom ispitivanju 31 dijete u dobi od 1 do 18 godina s Alagilleovim sindromom liječeno je lijekom Livmarli tijekom 18 tjedana, nakon čega je ocijenjen njihov odgovor na liječenje.

Nakon početnog liječenja u trajanju od 18 tjedana, 29 bolesnika koji su imali smanjenje razine žučnih kiselina u krvi od najmanje 50 % naknadno je primilo ili placebo (prividno liječenje) ili Livmarli tijekom četiri tjedna. Rezultati su pokazali da se u bolesnika koji su nastavili liječenje lijekom Livmarli tijekom četiri tjedna razina žučne kiseline i dalje smanjivala, dok je u bolesnika koji su prešli na placebo došlo do znatnih povećanja. Nakon tog razdoblja od četiri tjedna svi su bolesnici ponovno primili lijek Livmarli. Kad su bolesnici koji su uzimali placebo nastavili liječenje lijekom Livmarli, razine u krvi smanjile su se na razine koje su prethodno zabilježene kod lijeka Livmarli. Ispitivanje je također pokazalo da su se primjenom lijeka Livmarli ublažili simptomi svrbeža povezanog s bolešću.

U drugom ispitivanju, koje je obuhvatilo osmero djece u dobi od dva mjeseca do manje od godinu dana, lijek Livmarli nije uspoređen ni s jednom drugom terapijom ili placebom. Rezultati ispitivanja pokazali su da su nakon 13 tjedana liječenja bolesnici u prosjeku imali poboljšanje simptoma svrbeža povezanog s bolešću i smanjenje razine žučnih kiselina u krvi.

Koji su rizici povezani s lijekom Livmarli?

Najčešće nuspojave lijeka Livmarli (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) jesu proljev i bol u abdomenu (bol u trbuhu).

Potpuni popis zabilježenih nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Livmarli potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Livmarli odobren u EU-u?

Alagilleov sindrom je po život opasna bolest. U trenutku izdavanja odobrenja za lijek Livmarli nije postojala druga odobrena terapija za tu bolest. Budući da se radi o vrlo rijetkoj bolesti, ispitivanja su bila mala i bila su podložna ograničenjima, ali se lijek Livmarli pokazao učinkovitim u smanjenju količine žučne kiseline u krvi bolesnika s tom bolešću i ublažavanju simptoma povezanih s tom bolešću, kao što je intenzivan svrbež. Iako su podatci o sigurnosti lijeka Livmarli ograničeni i potrebno je prikupiti dodatne podatke, dosad zabilježene nuspojave smatraju se prihvatljivima. Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Livmarli nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Lijek Livmarli odobren je u „iznimnim okolnostima“. Razlog tome je nemogućnost dobivanja potpunih informacija o lijeku Livmarli zbog male učestalosti bolesti. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove informacije koje postanu dostupne te se ovaj pregled informacija po potrebi ažurira.

Koje se još informacije očekuju o lijeku Livmarli?

Budući da je lijek Livmarli odobren u iznimnim okolnostima, tvrtka koja stavlja lijek Livmarli u promet svake će godine dostaviti ažurirane informacije o svim novim informacijama u pogledu sigurnosti primjene i djelotvornosti lijeka Livmarli. Osim toga, tvrtka će provesti i dostaviti rezultate ispitivanja

kako bi se dodatno odredila dugoročna sigurnost i djelotvornost lijeka za liječenje kolestatskog svrbeža.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena cjepiva Livmarli?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Livmarli nalaze se u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Livmarli kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Livmarli pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Livmarli

Više informacija o lijeku Livmarli dostupno je na internetskim stranicama Agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/livmarli