



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Müügiloa taotluse tagasivõtmise teave: Livmarli (maraliksibaatkloriid)

FGK Representative Service GmbH võttis tagasi ravimi Livmarli müügiloa taotluse. Ravim oli näidustatud 2. tüüpi progresseeruva perekondliku intrahepaatilise kolestaasi (PFIC2) raviks vähemalt 1-aastastel patsientidel.

Ettevõtte võttis taotluse tagasi 23. augustil 2021.

Mis on Livmarli ja milleks kavatseti seda kasutada?

Livmarli töötati välja ravimina progresseeruva PFIC2 raviks vähemalt 1-aastastel patsientidel. PFIC2 on pärilik maksahäire, mille korral sapphapped kogunevad verre ja maksa ning põhjustavad sügelust ja maksakahjustust. Sapphapped on sapi komponendid. Sapp on maksas tekkiv vedelik, mis eritub soolde ja soodustab seedimist.

Livmarli sisaldab toimeainena maraliksibaatkloriidi ja seda kavatseti turustada suukaudse lahusena.

Livmarli nimetati 16. jaanuaril 2014 progresseeruva perekondliku intrahepaatilise kolestaasi harvikravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on ameti veebilehel:

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

Kuidas Livmarli toimib?

Ravim vähendab eeldatavasti sapphapete kogust veres ja maksas. Arvatakse, et Livmarli toimeaine maraliksibaatkloriid blokeerib valgu ASBT toime. See valk aitab transportida sapphappeid soolestikust tagasi verre ja maksa. Kui ASBT-valgud on blokeeritud, erituvad sapphapped selle asemel organismist. See vähendab eeldatavasti sapphapete kogunemist verre ja maksa ning seega PFIC2-patsientidel esinevat sügelust ja maksakahjustust.

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



Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas ühe uuringu tulemused, milles osales 25 PFIC2-patsienti, kes olid 1–13-aastased ja keda raviti Livmarliga vähemalt 5 aastat. Efektiivsuse põhinäitaja oli sapphapete sisalduse vähenemine veres 13-nädalase ravi järel. Livmarlit ei võrreldud teiste ravimite ega platseeboga (näiv ravim).

Mis järgus oli müügiloa taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Taotlus võeti tagasi pärast seda, kui Euroopa Raviamet oli hinnanud ettevõtte esialgselt esitatud teavet ja koostanud ettevõttele vastamiseks küsimused. Ettevõtte ei olnud taotluse tagasivõtmise ajaks neile küsimustele veel vastanud.

Mis oli sel ajal ameti soovitus?

Tuginedes esitatud andmete analüüsile, nägi amet taotluse tagasivõtmise ajal põhjust ettevaatlikkuseks ja oli esialgsel seisukohal, et ravimi Livmarli kasutamist PFIC2 raviks ei ole võimalik heaks kiita.

Tuginedes olemasolevate andmete olulistele määramatustele, pidas amet ravimi efektiivsust PFIC2 ravis probleemseks. Efektiivsuse osas ei tõendanud uuring pärast 13-nädalast ravi PFIC2 patsientidel olulist ravitoimet. Seetõttu ei olnud võimalik teha järeldusi Livmarli pikaajalise efektiivsuse kohta patsientide sihtpopulatsioonis. Amet pidas probleemseks ka tootmisprotsessi teatud aspekte ja hea tootmistava järgimist.

Seetõttu oli amet müügiloa taotluse tagasivõtmise ajal arvamusel, et Livmarli kasulikkus ei ole suurem kui sellega kaasnevad riskid.

Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?

Ettevõtte [kirjas](#), milles ta teatab Euroopa Raviametile oma taotluse tagasivõtmisest, märgib ettevõtte, et otsus taotlus tagasi võtta põhines ettevõtte äri- ja regulatiivstrateegiate muudatusel pärast arutelu inimravimite komiteega ning tulevaste lisaandmete prognoosil.

Kas tagasivõtmine mõjutab praegu kliinilistes uuringutes osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas Euroopa Raviametile, et taotluse tagasivõtmine ei mõjuta praegu Livmarli kliinilistes uuringutes osalevaid patsiente.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus ja vajate ravi kohta lisateavet, rääkige kliinilise uuringu arstiga.