



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Ocaliva (*acide obéticholique*)

Aperçu d'Ocaliva et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

### Qu'est-ce qu'Ocaliva et dans quel cas est-il utilisé?

Ocaliva est utilisé pour le traitement des adultes atteints d'une maladie du foie connue sous le nom de cholangite biliaire primitive.

La cholangite biliaire primitive est une affection auto-immune dans laquelle il y a une destruction progressive des petits canaux biliaires dans le foie. Ces canaux transportent un liquide, appelé bile, du foie vers l'intestin, où il est utilisé pour faciliter la digestion des graisses. Du fait de la détérioration des canaux, la bile s'accumule dans le foie, ce qui endommage le tissu hépatique. Ces lésions peuvent entraîner la formation de tissu cicatriciel dans le foie et une insuffisance hépatique, et peuvent augmenter le risque de cancer du foie.

Ocaliva contient le principe actif acide obéticholique. Il est utilisé conjointement avec un autre médicament, l'acide ursodésoxycholique (AUDC), chez les patients qui présentent une réponse insuffisante à l'AUDC seul, et il est administré seul chez les patients qui ne peuvent pas prendre l'AUDC.

La cholangite biliaire primaire est rare et Ocaliva a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 27 juillet 2010. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

### Comment Ocaliva est-il utilisé?

Ocaliva est disponible sous forme de comprimés (5 et 10 mg) et n'est délivré que sur ordonnance. La dose initiale recommandée est de 5 mg une fois par jour ou 5 mg une fois par semaine, en fonction du degré de l'atteinte hépatique (qui doit être déterminée avant l'instauration du traitement par Ocaliva). Après quelques mois, si Ocaliva est bien toléré, la dose peut être augmentée. Les doses peuvent être réduites ou le traitement peut devoir être interrompu chez les patients qui présentent des démangeaisons intolérables (un effet indésirable possible associé à Ocaliva).

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Ocaliva, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.



## Comment Ocaliva agit-il?

Le principe actif d'Ocaliva, l'acide obéticholique, est une forme modifiée d'un acide biliaire (les principaux constituants de la bile). Il agit essentiellement en se fixant aux récepteurs dans le foie et l'intestin (récepteurs X farnésoides) qui régulent la production de bile. En se fixant à ces récepteurs, Ocaliva diminue la production de bile dans le foie, empêchant celle-ci de s'accumuler et d'endommager le tissu hépatique.

## Quels sont les bénéfices d'Ocaliva démontrés au cours des études?

Ocaliva a été comparé à un placebo (un traitement fictif) dans une étude principale portant sur 217 adultes atteints de cholangite biliaire primitive qui soit prenaient de l'AUDC depuis au moins un an, soit ne pouvaient pas prendre de l'AUDC. Le critère d'évaluation de l'efficacité était basé sur le nombre de patients dont le taux sanguin des substances bilirubine et phosphatases alcalines (marqueurs d'atteinte hépatique) diminuait d'au moins 15 % (pour les phosphatases alcalines, PAL) et en dessous d'une certaine valeur considérée comme normale (pour la bilirubine) après un an de traitement.

L'étude a montré qu'Ocaliva était plus efficace que le placebo pour réduire les taux sanguins de bilirubine et de PAL: les taux ont diminué de l'ampleur requise chez 47 % des patients (34 sur 73) traités par Ocaliva 10 mg, et chez 46 % des patients (32 sur 70) traités par des doses croissantes d'Ocaliva (de 5 mg jusqu'à 10 mg), contre 10 % des patients (7 sur 73) sous placebo.

## Quels sont les risques associés à l'utilisation d'Ocaliva?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Ocaliva sont le prurit (démangeaisons) (qui peut toucher plus de six personnes sur 10) et la fatigue (qui peut toucher plus de deux personnes sur 10). Le prurit est également l'effet indésirable le plus fréquent ayant entraîné une interruption du traitement. La plupart des cas de prurit observés se sont produits durant le premier mois du traitement et ont disparu lors de la poursuite du traitement. Pour une description complète des effets indésirables observés sous Ocaliva, voir la notice.

Ocaliva ne doit pas être utilisé chez les patients dont les voies biliaires sont complètement obstruées. Pour une liste complète des restrictions, voir la notice.

## Pourquoi Ocaliva est-il autorisé dans l'UE?

Les options thérapeutiques pour les patients atteints de cholangite biliaire primitive sont limitées. Il a été démontré qu'Ocaliva diminuait les taux sanguins de bilirubine et de PAL chez des patients atteints de cholangite biliaire primitive, y compris ceux qui ne pouvaient pas être traités par l'AUDC. L'ampleur de ces diminutions témoigne d'une amélioration de l'état du foie. Toutefois, les bénéfices cliniques d'Ocaliva restent à démontrer dans d'autres études. Le profil de sécurité du médicament a été jugé favorable, avec des effets indésirables qui ont été tolérables et gérables avec un traitement de soutien (par exemple pour le prurit) et des ajustements de la dose. L'Agence européenne des médicaments a par conséquent estimé que les bénéfices d'Ocaliva sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Une «autorisation conditionnelle» a été délivrée pour Ocaliva. Cela signifie que des preuves supplémentaires, à fournir par la société, sont attendues pour ce médicament. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent aperçu.

## **Quelles informations sont encore en attente au sujet d'Ocaliva?**

Une autorisation conditionnelle ayant été délivrée pour Ocaliva, la société qui commercialise Ocaliva fournira des données supplémentaires provenant de deux études pour confirmer l'efficacité et la sécurité du médicament. La première étude est conçue pour démontrer le bénéfice clinique d'Ocaliva, tandis que la seconde étude examinera les bénéfices d'Ocaliva chez les patients atteints d'une maladie hépatique modérée à sévère.

## **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Ocaliva?**

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Ocaliva ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation d'Ocaliva sont surveillées en permanence. Les effets indésirables rapportés avec Ocaliva sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

## **Autres informations relatives à Ocaliva:**

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Ocaliva, le 12 décembre 2016.

Des informations supplémentaires sur Ocaliva sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Dernière mise à jour du présent aperçu: 03-2018.