



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ocaliva (*obeticholsyre*)

Oversigt over Ocaliva, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Ocaliva, og hvad anvendes det til?

Ocaliva anvendes til behandling af voksne med en leversygdom, der kaldes primær biliær kolangitis.

Primær biliær kolangitis er en autoimmun sygdom, hvor de små galdegange i leveren gradvis ødelægges. Disse gange fører galde fra leveren til tarmene, hvor den medvirker til fordøjelsen af fedtstoffer. Som følge af skaden på gangene ophobes der galde i leveren, hvilket medfører skade på levervævet. Dette kan føre til ardannelse og leversvigt, og kan øge risikoen for leverkræft.

Ocaliva indeholder det aktive stof obeticholsyre. Det anvendes sammen med et andet lægemiddel, ursodeoxycholsyre (UDCA), hos patienter, hvor UDCA alene ikke virker tilstrækkeligt. Hos patienter, der ikke kan anvende UDCA, anvendes det alene.

Primær biliær kolangitis er en sjælden sygdom, og Ocaliva blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 27. juli 2010. Yderligere oplysninger om udpegelsen til lægemiddel til sjældne sygdomme findes her: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Hvordan anvendes Ocaliva?

Ocaliva fås som tabletter (5 og 10 mg) og udleveres kun efter recept. Den anbefalede startdosis er 5 mg én gang dagligt eller 5 mg én gang om ugen, afhængigt af hvor nedsat patientens leverfunktion er (hvilket skal bestemmes inden behandlingen med Ocaliva påbegyndes). Når der er gået nogle få måneder, og Ocaliva tåles godt, kan dosis forhøjes. Hvis patienten får utålelig kløe (en mulig bivirkning ved Ocaliva), kan dosis sættes ned, eller det kan være nødvendigt at stoppe behandlingen.

Hvis du ønsker flere oplysninger om anvendelsen af Ocaliva, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvordan virker Ocaliva?

Det aktive stof i Ocaliva, obeticholsyre, er en modificeret form af en galdesyre (som udgør hovedparten af galden). Det virker hovedsagelig ved at bindes til de receptorer i leveren og tarmen



(farnesoid X-receptorer), der kontrollerer dannelsen af galde. Ved at bindes til disse receptorer nedsætter Ocaliva galdedannelsen i leveren, så det undgås, at galden ophobes og skader levervævet.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Ocaliva?

Ocaliva blev sammenlignet med placebo (en virkningsløs behandling) i en hovedundersøgelse med 217 voksne med primær biliær kolangitis, som enten havde fået UDCA i mindst ét år eller ikke kunne anvende UDCA. Virkningen blev målt på det antal patienter, hvis indhold i blodet af stofferne bilirubin og ALP (markører for leverskade) efter et års behandling var faldet med mindst 15 % (for ALP) henholdsvis var under en bestemt værdi, der anses for normal (for bilirubin).

Undersøgelsen viste, at Ocaliva var mere effektivt end placebo til at nedsætte blodets indhold af bilirubin og ALP. Niveauerne faldt i det nødvendige omfang hos 47 % (34 ud af 73) af de patienter, der fik 10 mg Ocaliva, og hos 46 % (32 ud af 70) af dem, der fik en stigende dosis af Ocaliva (fra 5 mg op til 10 mg). Dette skal sammenholdes med 10 % (7 ud af 73) af de patienter, der fik placebo.

Hvilke risici er der forbundet med Ocaliva?

De hyppigste bivirkninger ved Ocaliva er kløe (som optræder hos mere end 6 ud af 10 patienter) og træthed (som optræder hos mere end 2 ud af 10 patienter). Kløe er desuden den hyppigste bivirkning, der kan medføre, at behandlingen må stoppes. I de fleste tilfælde optrådte kløe inden for den første måneds behandling. Dette havde tendens til med tiden at svinde ved fortsat behandling. Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger ved Ocaliva fremgår af indlægssedlen.

Ocaliva må ikke anvendes hos patienter, hvor galdegangene er fuldstændig blokeret. Den fuldstændige liste over begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Ocaliva godkendt i EU?

Hos patienter med primær biliær kolangitis er behandlingsmulighederne begrænsede. Det er påvist, at Ocaliva nedsætter blodets indhold af bilirubin og ALP hos patienter med primær biliær kolangitis, herunder dem, der ikke kunne behandles med UDCA. Bilirubin og ALP blev reduceret i et omfang, der viser bedring i leverens tilstand. De kliniske fordele ved Ocaliva skal dog påvises i yderligere undersøgelser. Sikkerhedsprofilen af lægemidlet blev anset for at være gunstig, idet bivirkningerne var tålelige og kunne håndteres med støttende behandling (f.eks. mod kløe) og dosisjustering. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Ocaliva opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Ocaliva har fået en "betinget godkendelse". Det betyder, at der er flere videnskabelige beviser på vej om lægemidlet, som virksomheden er blevet pålagt at fremskaffe. Hvert år gennemgår Det Europæiske Lægemiddelagentur alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt denne oversigt.

Hvilke oplysninger afventes der stadig for Ocaliva?

Da Ocaliva har fået en betinget godkendelse, skal virksomheden, der markedsfører Ocaliva, fremlægge yderligere data fra to undersøgelser med henblik på yderligere bekræftelse af virkningen af og sikkerheden ved lægemidlet. Den første undersøgelse er udformet med henblik på at påvise den kliniske fordel ved Ocaliva, mens den anden skal undersøge fordelene ved Ocaliva hos patienter med moderat til svær leversygdom.

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

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

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brug af Ocaliva løbende overvåget. Bivirkninger rapporteret for Ocaliva vurderes omhyggeligt, og der foretages nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Ocaliva

Ocaliva fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 12. december 2016.

Yderligere oplysninger om Ocaliva findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 03-2018.