



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ocaliva (*acido obeticolico*)

Sintesi di Ocaliva e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Che cos'è e per che cosa si usa Ocaliva?

Ocaliva è usato per il trattamento di pazienti adulti affetti da una malattia epatica nota come colangite biliare primitiva.

La colangite biliare primitiva è una malattia di origine autoimmune in cui si ha una graduale distruzione dei piccoli dotti biliari del fegato, che trasportano un liquido detto bile dal fegato all'intestino, dove contribuisce alla digestione dei grassi. In conseguenza del danno ai dotti si ha un accumulo di bile a livello del fegato, i cui tessuti sono quindi danneggiati. Ne possono conseguire cirrosi e insufficienza epatica, con un possibile incremento del rischio di cancro al fegato.

Ocaliva contiene il principio attivo acido obeticolico. È usato in associazione a un altro medicinale, l'acido ursodesossicolico (UDCA), in pazienti con risposta insufficiente al solo UDCA; è inoltre usato in monoterapia nei pazienti che non possono assumere UDCA.

La colangite biliare primitiva è una malattia rara e Ocaliva è stato definito come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 27 luglio 2010. Maggiori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Come si usa Ocaliva?

Ocaliva è disponibile sotto forma di compresse (5 e 10 mg) e può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. La dose iniziale raccomandata è 5 mg una volta al giorno o 5 mg una volta alla settimana, in base al grado di compromissione epatica del paziente (che deve essere accertato prima dell'inizio del trattamento con Ocaliva). Se Ocaliva è ben tollerato, dopo qualche mese la dose può essere aumentata. Può invece essere ridotta, anche fino alla sospensione del trattamento, nei pazienti che lamentano un prurito insopportabile (possibile effetto indesiderato di Ocaliva).

Per maggiori informazioni sull'uso di Ocaliva, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.



Come agisce Ocaliva?

Il principio attivo di Ocaliva, acido obeticolico, è una forma modificata dell'acido biliare (il componente principale della bile). Agisce principalmente legandosi a recettori nel fegato e nell'intestino (recettori X farnesoidi) che controllano la produzione di bile. Legandosi a tali recettori, Ocaliva riduce la produzione di bile nel fegato e ne impedisce l'accumulo e il danneggiamento del tessuto epatico.

Quali benefici di Ocaliva sono stati evidenziati negli studi?

Ocaliva è stato confrontato con placebo (un trattamento fittizio) nell'ambito di uno studio principale condotto su 217 adulti affetti da colangite biliare primitiva che avevano assunto UDCA per almeno un anno o non potevano assumerlo. La misura dell'efficacia era basata sul numero di pazienti i cui livelli ematici delle sostanze bilirubina e ALP (marcatori di danno epatico) dopo un anno di trattamento erano diminuiti di almeno il 15 % (per ALP) e al di sotto di un determinato valore considerato normale (per bilirubina).

Lo studio ha evidenziato che Ocaliva è stato più efficace del placebo nel ridurre i livelli ematici di bilirubina e ALP, che sono diminuiti della quantità richiesta nel 47 % (34 su 73) dei pazienti trattati con Ocaliva 10 mg e nel 46 % (32 su 70) di quelli trattati con dosi crescenti di Ocaliva (da 5 mg a 10 mg), rispetto al 10 % (7 su 73) di pazienti che hanno assunto placebo.

Quali sono i rischi associati a Ocaliva?

Gli effetti indesiderati più comuni di Ocaliva sono prurito (che può riguardare più di 6 persone su 10) e stanchezza (che può riguardare più di 2 persone su 10). Il prurito è anche l'effetto indesiderato più comunemente all'origine della sospensione del trattamento. Nella maggior parte dei casi osservati, si è avuto prurito entro il primo mese di trattamento, con tendenza a risolversi nel tempo pur continuando la terapia. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Ocaliva, vedere il foglio illustrativo.

Ocaliva non deve essere utilizzato in pazienti i cui dotti biliari sono completamente ostruiti. Per l'elenco completo delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

Perché Ocaliva è autorizzato nell'UE?

Per i pazienti affetti da colangite biliare primitiva esistono opzioni di trattamento limitate. È stato evidenziato che Ocaliva riduce i livelli ematici di bilirubina e ALP nei pazienti affetti da colangite biliare primitiva, compresi quelli che non possono essere trattati con UDCA. Le riduzioni di bilirubina e ALP sono state di un'entità tale da constatare un miglioramento della condizione del fegato. Tuttavia, i benefici clinici di Ocaliva devono essere provati nell'ambito di ulteriori studi. Il profilo di sicurezza del medicinale è stato considerato favorevole, con effetti indesiderati tollerabili e gestibili con un trattamento di supporto (per esempio, in caso di prurito) e aggiustamenti della dose. L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Ocaliva sono superiori ai rischi e perciò può essere autorizzato per l'uso nell'UE.

Ocaliva ha ottenuto una "autorizzazione subordinata a condizioni". Questo significa che in futuro saranno disponibili ulteriori informazioni sul medicinale, che la ditta è tenuta a fornire. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili e questa sintesi sarà aggiornata di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Ocaliva?

Poiché per Ocaliva è stata rilasciata un'autorizzazione subordinata a condizioni, la ditta che lo commercializza fornirà dati aggiuntivi provenienti da due studi, al fine di confermare l'efficacia e la sicurezza del medicinale. Il primo è progettato per dimostrare i benefici clinici di Ocaliva, mentre il secondo analizzerà i benefici di Ocaliva in pazienti con malattia epatica da moderata a grave.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Ocaliva?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Ocaliva sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Ocaliva sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Ocaliva sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Ocaliva

Ocaliva ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 12 dicembre 2016.

Ulteriori informazioni su Ocaliva sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 03-2018.