Importanti informazioni di sicurezza di Swissmedic

Berna, agosto 2025

Acido obeticolico: beneficio clinico non confermato; revoca dell'omologazione di Ocaliva®

Gentili Signore e Signori,

Swissmedic desidera informarvi di quanto segue:

Riassunto

- **Lo studio di conferma di fase 3 747-302 (COBALT) su Ocaliva in pazienti affetti da colangite biliare primitiva (PBC) non ha confermato il beneficio clinico di Ocaliva.**
- **Di conseguenza, Swissmedic non considera più favorevole il rapporto beneficio/rischio di Ocaliva.**
- **Advanz Pharma Specialty Medicine Switzerland GmbH ha presentato a Swissmedic la domanda di revoca dell'omologazione con effetto immediato a seguito della rinuncia alla commercializzazione di Ocaliva (acido obeticolico).**
- **Nessun nuovo paziente deve essere trattato con Ocaliva se non incluso in uno studio clinico. Per i pazienti attualmente in trattamento con Ocaliva devono essere prese in considerazione le opzioni terapeutiche disponibili.**

Informazioni di base

L'acido obeticolico (OCA) è stato omologato in Svizzera nel giugno 2018 per il trattamento della colangite biliare primitiva (PBC, *primary biliary cholangitis*) in combinazione con l'acido ursodesossicolico (UDCA, *ursodesoxycholic acid*) negli adulti con risposta inadeguata all'UDCA o come monoterapia negli adulti che non tollerano l'UDCA.

L'omologazione si basava sui risultati di uno studio di fase 3, randomizzato, in doppio cieco e controllato con placebo (POISE). Nello studio POISE, un trattamento di 12 mesi con Ocaliva in pazienti con PBC evidenziava una riduzione dei livelli ematici di fosfatasi alcalina (ALP), che era stata considerata un segno di miglioramento della funzione epatica. Al momento dell'omologazione non erano disponibili dati sul beneficio clinico a lungo termine per quanto riguarda la riduzione di eventi correlati al fegato (morte, trapianto di fegato, scompenso epatico).

Lo studio 747-302 (COBALT) è stato condotto successivamente per confermare il beneficio e la sicurezza del medicamento. COBALT era uno studio multicentrico di conferma, in doppio cieco, randomizzato e controllato con placebo per valutare il beneficio clinico a lungo termine del trattamento con Ocaliva sulla base della riduzione degli eventi correlati al fegato in pazienti con PBC che non rispondono al trattamento con UDCA o non lo tollerano.

Lo studio COBALT, con circa il 70% degli eventi previsti (una percentuale non trascurabile), non ha dimostrato alcuna differenza tra Ocaliva e il placebo per l'endpoint primario composito di morte, trapianto di fegato o scompenso epatico nella popolazione ITT: HR 1,01 (IC 95 %: 0,68, 1,51), valore p: 0,954. Nel sottogruppo dei pazienti con PBC compensata, attualmente incluso nell'indicazione omologata, i risultati nei due bracci di trattamento sono stati quasi identici (21,3 % vs. 21,7 % rispettivamente per OCA e placebo, HR 0,98 [IC 95 %: 0,58, 1,64]).

Pertanto, lo studio non è riuscito a dimostrare l'efficacia del trattamento con Ocaliva sugli endpoint clinici rilevanti per l'intero spettro di pazienti con PBC, compresa una sottopopolazione di pazienti con PBC corrispondente all'indicazione attualmente omologata, e quindi non ha confermato il beneficio clinico di Ocaliva.

Poiché il beneficio clinico non è stato confermato, Swissmedic non considera più favorevole il rapporto beneficio/rischio di Ocaliva.

Advanz Pharma Specialty Medicine Switzerland GmbH ha presentato a Swissmedic la domanda di revoca dell'omologazione con effetto immediato a seguito della rinuncia alla commercializzazione di Ocaliva (acido obeticolico).

Nessun nuovo paziente deve essere trattato con Ocaliva se non incluso in uno studio clinico. Per i pazienti attualmente in trattamento con Ocaliva devono essere prese in considerazione le opzioni terapeutiche disponibili.

Notifica di effetti indesiderati

Per la notifica di effetti indesiderati di medicamenti (EI), Swissmedic raccomanda di utilizzare la piattaforma di notifica Electronic Vigilance System (ElViS) appositamente sviluppata. Tutte le informazioni necessarie si trovano su www.swissmedic.ch