

Rapporto sintetico di omologazione del 03.02.2025

Livmarli® (principio attivo: maralixibat)

Omologazione in Svizzera: 18.07.2024

Soluzione orale per il trattamento del prurito colestatico in pazienti affette/i da sindrome di Alagille (ALGS) di età pari o superiore a 3 mesi.

Informazioni sul medicamento

Livmarli contiene il principio attivo maralixibat.

Il medicamento Livmarli è utilizzato per trattare il prurito intenso dovuto a colestasi in pazienti con ALGS di età pari o superiore a 3 mesi.

ALGS è una rara malattia ereditaria che può, tra l'altro, causare una riduzione dei dotti biliari nel fegato, impedendo il normale deflusso della bile e provocandone il ristagno. Questo stato di cose provoca un aumento degli acidi biliari e di altri componenti della bile nel sangue. Le persone colpite soffrono spesso di forte prurito e stanchezza. Inoltre, la pelle può assumere una colorazione giallastra.

Il medicamento Livmarli aiuta a ridurre l'accumulo di acidi biliari nel corpo e ad alleviare così i sintomi nelle/nei pazienti.

Poiché l'ALGS è una malattia rara potenzialmente letale, il medicamento Livmarli è stato omologato come «medicamento orfano». Sono definiti «orfani» i medicinali importanti per malattie rare.

Swissmedic ha omologato Livmarli per pazienti di età superiore 12 mesi ai sensi dell'articolo 13 della legge sugli agenti tera-

peutici (LATER). Questo significa che il medicamento è già stato omologato in un altro Paese con controllo dei medicinali equivalente. In questo caso Swissmedic tiene conto dei risultati degli esami effettuati dalle autorità estere di controllo dei medicinali, a condizione che siano soddisfatti determinati requisiti. Tali requisiti riguardano gli esami effettuati sulla qualità, sull'efficacia e sulla sicurezza del medicamento nonché la misura in cui i risultati possono essere adottati per la Svizzera. Tenere conto dei risultati delle procedure di omologazione estere deve contribuire a mettere a disposizione delle pazienti e dei pazienti svizzeri i medicinali già omologati all'estero il più rapidamente possibile.

Per l'omologazione di Livmarli in Svizzera, Swissmedic ha ripreso in parte i risultati degli esami eseguiti dell'autorità statunitense di controllo dei medicinali (FDA; Reference ID: 4863362) e ha effettuato solo una valutazione scientifica limitata per neonate e neonati di età compresa tra 3 e 12 mesi.

Sia nello SwissPAR (Swiss Public Assessment Report) sia nel relativo Rapporto sintetico di omologazione, Swissmedic fa quindi rife-

rimento al rapporto di valutazione pubblicamente disponibile dell'autorità di riferimento FDA: www.fda.gov

Meccanismo d'azione

Il principio attivo maralixibat presente nel medicamento Livmarli blocca il trasportatore specifico degli acidi biliari nell'intestino. Di conseguenza riduce il riassorbimento degli acidi biliari nel corpo e diminuisce l'accumulo di acidi biliari nel fegato e nel sangue. Grazie a questo meccanismo d'azione, il prurito può essere attenuato.

stino. Di conseguenza riduce il riassorbimento degli acidi biliari nel corpo e diminuisce l'accumulo di acidi biliari nel fegato e nel sangue. Grazie a questo meccanismo d'azione, il prurito può essere attenuato.

Impiego

Livmarli è soggetto a prescrizione medica ed è disponibile come soluzione orale da 9,5 mg di maralixibat per ml.

La dose raccomandata è di 380 µg/kg di peso corporeo una volta al giorno, da assumere al mattino 30 minuti prima di un pasto.

La posologia iniziale è di 190 µg/kg, somministrati per via orale una volta al giorno, da

aumentare a 380 µg/kg una volta al giorno dopo una settimana. Se viene dimenticata una dose, questa deve essere assunta il prima possibile entro 12 ore dall'orario di assunzione abituale.

La medica o il medico deve esaminare i valori epatici delle pazienti e dei pazienti prima dell'inizio del trattamento e monitorarli.

Efficacia

L'efficacia di Livmarli è stata valutata in uno studio con un totale di 31 pazienti affetti da ALGS che soffrivano di prurito. Le/i partecipanti allo studio hanno ricevuto il medicamento Livmarli per 18 settimane a cui è seguita una fase controllata con placebo¹ della durata di 4 settimane. In questa fase alcune/i pazienti hanno continuato il trattamento

con Livmarli, mentre altre/i hanno ricevuto un placebo.

I risultati dello studio condotto hanno mostrato che nel gruppo di pazienti con Livmarli il prurito è stato notevolmente attenuato rispetto al gruppo con placebo.

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

Livmarli non deve essere usato in caso di ipersensibilità al principio attivo o a una qualsiasi sostanza ausiliaria.

Gli effetti indesiderati più comuni sono diarrea, dolore addominale, vomito, tosse, infezioni della mucosa nasale e faringea, infezioni dell'orecchio, mal di testa e carenza di vitamine liposolubili.

Le misure precauzionali, i rischi e altri possibili effetti indesiderati sono elencati nell'informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo) e nell'informazione professionale.

¹ Placebo: medicamento fittizio

Motivazione della decisione di omologazione

Attualmente esistono opzioni terapeutiche farmacologiche limitate per le persone affette da ALGS che soffrono di prurito colestatico.

Nello studio condotto, è stato dimostrato che Livmarli con il principio attivo maralixibat può ridurre il prurito e migliorare così la

qualità della vita delle pazienti e dei pazienti.

Tenendo conto di tutti i rischi e di tutte le misure precauzionali, e sulla base dei dati disponibili, i benefici di Livmarli superano i rischi. Swissmedic ha pertanto omologato per la Svizzera il medicamento Livmarli contenente il principio attivo maralixibat.

Maggiori informazioni sul medicamento

Informazione per il personale medico-sanitario: [Informazione professionale di Livmarli®](#)

Informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo): [Informazione destinata alle pazienti e ai pazienti di Livmarli®](#)

Per altre domande, rivolgersi alle/ai professioniste/i della salute.

Lo stato di questa informazione corrisponde a quello dello SwissPAR. Le nuove conoscenze acquisite sul medicamento omologato non sono incluse nel Rapporto sintetico di omologazione.

I medicinali omologati in Svizzera sono monitorati da Swissmedic. In caso di nuovi effetti indesiderati riscontrati o di altri segnali rilevanti per la sicurezza, Swissmedic adotterà le misure necessarie. Swissmedic si occuperà di registrare e pubblicare qualsiasi nuova conoscenza acquisita concernente aspetti che potrebbero compromettere la qualità, l'efficacia o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.