

COMUNICAT DE PRESĂ

Agenția Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale din România prezintă în cele ce urmează traducerea în limba română a comunicatului de presă al Agenției Europene pentru Medicamente (European Medicines Agency - EMA):

EMA recomandă revocarea autorizației condiționate de punere pe piață a medicamentului Ocaliva

28 Iunie 2024
EMA/294368/2024

Beneficiile medicamentului Ocaliva nu mai depășesc riscurile

Comitetul EMA pentru medicamente de uz uman (CHMP) a încheiat evaluarea medicamentului Ocaliva (acid obeticolic) și a recomandat revocarea autorizației de punere pe piață a acestuia, întrucât nu se mai consideră că beneficiile acestui medicament depășesc riscurile. Medicamentul Ocaliva este utilizat în tratamentul colangitei biliare primitive (CBP) la adulți, o afecțiune autoimună care determină distrugerea treptată a căilor biliare, care poate duce la insuficiență hepatică și poate crește riscul apariției cancerului hepatic.

La momentul autorizării sale condiționate de punere pe piață, în 2016, s-a demonstrat că medicamentul Ocaliva reduce nivelurile sanguine ale fosfatazei alcaline (ALP) și bilirubinei (markeri ai inflamației hepatice) la pacienții cu CBP, considerându-se că acest fapt a indicat o îmbunătățire a stării ficatului. Cu toate acestea, beneficiile clinice ale medicamentului Ocaliva trebuiau demonstrate în studii ulterioare, solicitate de EMA ca parte a condițiilor autorizației de punere pe piață a medicamentului. În special, [studiul 747-302](#) a fost un studiu clinic randomizat, al cărui scop a fost confirmarea beneficiilor clinice și siguranței medicamentului Ocaliva la pacienții cu răspuns inadecvat la acidul ursodeoxicolic (UDCA, un alt medicament pentru CBP) sau care nu pot tolera UDCA.

CHMP a evaluat acum concluziile acestui studiu, precum și alte date disponibile, inclusiv date din practica clinică (real world data) și date provenite din studiile de susținere prezentate de compania care comercializează Ocaliva, și informații transmise de profesioniștii din domeniul sănătății și asociațiile de pacienți. În plus, CHMP a luat în considerare feedback-ul primit de la un grup de experți în bolile

hepatice, care și-au prezentat opiniile referitoare la întrebările specifice puse de CHMP, precum și opiniile persoanelor afectate de CBP.

După examinarea dovezilor disponibile, comitetul a concluzionat că beneficiile clinice ale medicamentului Ocaliva nu au fost confirmate. În special, studiul 747-302 nu a reușit să indice faptul că utilizarea Ocaliva ar fi fost mai eficientă decât utilizarea unui tratament de tip placebo (un tratament inactiv), în ceea ce privește numărul de pacienți a căror stare s-a agravat sau care au decedat, atât la nivelul populației totale, cât și la cel al unui grup de pacienți aflați în stadiul incipient al CBP.

De asemenea, Comitetul a considerat că datele provenite din studiile de susținere și datele din practica curentă (real world data) nu au fost suficiente pentru a confirma beneficiile medicamentului Ocaliva și nu au putut contrabalansa rezultatele negative ale studiului 747-302. Prin urmare, CHMP a concluzionat că beneficiile Ocaliva nu depășesc riscurile sale și a recomandat ca autorizația sa de punere pe piață să fie revocată, pe teritoriul Uniunii Europene (UE).

Opinia CHMP va fi transmisă de către EMA Comisiei Europene, care va emite o decizie finală cu caracter juridic obligatoriu, aplicabilă în toate statele membre ale UE.

Informații pentru pacienți

- Un studiu recent nu a reușit să confirme eficiența medicamentului Ocaliva (acid obeticolic) în tratarea colangitei biliare primitive (CBP, o afecțiune autoimună care provoacă distrugerea treptată a căilor biliare mici de la nivelul ficatului).
- Studiul 747-302 nu a reușit să confirme faptul că medicamentul Ocaliva ar fi mai eficient decât un tratament de tip placebo (un tratament inactiv), în ceea ce privește numărul de pacienți a căror boală s-a agravat sau care au decedat, atât la nivelul populației totale, cât și la nivelul unui grup de pacienți cu CBP, aflați în stadiul incipient.
- Ca urmare, Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al EMA a recomandat ca medicamentul Ocaliva să fie scos de pe piața Uniunii Europene, întrucât nu se mai consideră că beneficiile acestuia sunt mai mari decât riscurile.
- Odată ce această recomandare va fi confirmată de Comisia Europeană, medicamentul Ocaliva nu va mai fi autorizat pe teritoriul UE. Cu toate acestea, compania poate furniza în continuare medicamentul prin intermediul utilizării compasionale (tratament de ultimă instanță) sau programelor dedicate pacienților care beneficiază deja de tratament cu Ocaliva.

- Dacă urmați tratament cu medicamentul Ocaliva, vă rugăm să discutați cu medicul dumneavoastră despre această decizie și despre ce însemnătate are pentru dumneavoastră și tratamentul dumneavoastră.

Informații pentru profesioniștii din domeniul sănătății

- O evaluare a datelor disponibile a concluzionat faptul că beneficiile clinice ale medicamentului Ocaliva (acid obeticolic), utilizat pentru tratarea colangitei biliare primitive (CBP), nu au fost confirmate.
- Îndeosebi, studiul 747-302 nu a găsit diferențe între administrarea medicamentului Ocaliva și a unui tratament de tip placebo, în ceea ce privește obiectivul primar compozit pentru deces, transplant hepatic sau decompensare hepatică în populația totală de pacienți cu CBP, care fie nu răspund sau sunt intoleranți la acidul ursodeoxicolic (HR 1,01 [IC 95%: 0,68, 1,51], valoarea p: 0,954). Prin urmare, EMA a recomandat ca autorizația de punere pe piață a medicamentului Ocaliva să fie revocată, pe teritoriul Uniunii Europene, deoarece beneficiile acestui medicament nu mai sunt considerate mai mari decât riscurile.
- Odată ce această recomandare va fi confirmată de Comisia Europeană, medicamentul Ocaliva nu va mai fi autorizat pe teritoriul UE. Cu toate acestea, compania poate furniza în continuare medicamentul prin intermediul utilizării compasionale (tratament de ultimă instanță) sau programelor dedicate pacienților care beneficiază deja de acest tratament.
- Profesioniștilor din domeniul sănătății nu li se recomandă să prescrie noi scheme de tratament cu medicamentul Ocaliva la niciun pacient nou, cu excepția studiilor clinice. Pentru pacienții aflați în tratament cu Ocaliva, trebuie luate în considerare opțiunile de tratament disponibile.

O comunicare directă către profesioniștii din domeniul sănătății va fi trimisă în timp util către profesioniștii din domeniul sănătății care prescriu, distribuie sau administrează acest medicament. Această comunicare va fi, de asemenea, publicată pe o [pagină specială](#) de pe website-ul EMA.

Mai multe informații despre medicament

Ocaliva este indicat pentru tratamentul colangitei biliare primitive (CBP), condiție care constă în distrugerea treptată a căilor biliare. Ca urmare a deteriorării căilor biliare, bila se acumulează în ficat, provocând leziuni ale țesutului hepatic. Acest

lucru poate duce la apariția cicatricilor și insuficienței hepatice și poate crește riscul apariției cancerului hepatic. Medicamentul Ocaliva este utilizat, în combinație cu acidul ursodeoxicolic (UDCA), la adulții cu răspuns inadecvat la UDCA sau ca monoterapie la adulții care nu pot tolera UDCA.

Colangita biliară primitivă (CBP) este o boală rară, iar Ocaliva a fost [desemnat „medicament orfan”](#) (medicament utilizat în boli rare) în data de 27 Iulie 2010.

Ocaliva a primit o [autorizație condiționată de punere pe piață](#) în Decembrie 2016. Autorizația condiționată se acordă pe baza unor date mai puțin cuprinzătoare decât este necesar, în mod normal. Se acordă medicamentelor care îndeplinesc nevoia medicală nesatisfăcută de a trata boli grave și atunci când beneficiile de a le avea la dispoziție mai devreme depășesc riscurile asociate utilizării, în așteptarea unor dovezi suplimentare.

La momentul aprobării, studiul principal a arătat că medicamentul Ocaliva a redus nivelurile sanguine ale fosfatazei alcaline (ALP) și bilirubinei (markeri ai inflamației hepatice) la pacienții cu CBP, inclusiv la cei care nu au putut fi tratați cu UDCA. Reducerile valorilor ALP și bilirubinei au fost considerate indicatori ai îmbunătățirii ulterioare a stării ficatului. Cu toate acestea, beneficiile medicamentului Ocaliva trebuiau confirmate în cadrul unor studii ulterioare.

Astfel, medicamentului i s-a acordat o autorizație condiționată de punere pe piață, compania fiind nevoită să furnizeze date suplimentare despre beneficiile și siguranța acestuia, provenite din două studii suplimentare (studiile 747-302 și 747-401).

Mai multe informații despre medicament sunt disponibile pe [website-ul EMA](#).

Mai multe informații despre procedură

Evaluarea medicamentului Ocaliva a fost declanșată la solicitarea Comisiei Europene (CE), în conformitate cu [articolul 20 al Regulamentului \(CE\) 726/2004](#).

Evaluarea a fost efectuată de Comitetul pentru medicamente de uz uman al EMA (CHMP), responsabil pentru evaluarea problemelor referitoare la medicamentele de uz uman, care a adoptat opinia Agenției. Opinia CHMP va fi transmisă Comisiei Europene, care va emite o decizie finală cu caracter juridic obligatoriu, aplicabilă în toate statele membre ale UE.