

Rapport succinct d'autorisation du 03.02.2025

Livmarli® (principe actif : maralixibat)

Autorisation en Suisse : 18.07.2024

Solution buvable destinée au traitement du prurit cholestatique (démangeaisons) chez les patients âgés de 3 mois ou plus qui présentent un syndrome d'Alagille

À propos du médicament

Le principe actif de Livmarli est le maralixibat.

Le médicament Livmarli est utilisé pour traiter les démangeaisons intenses dues à la cholestase chez les patients atteints d'un syndrome d'Alagille âgés de 3 mois et plus.

Le syndrome d'Alagille est une maladie génétique rare qui peut notamment conduire à un rétrécissement des voies biliaires dans le foie empêchant l'écoulement normal de la bile et provoquant une cholestase. Il en résulte une augmentation de la concentration d'acides biliaires et d'autres composantes de la bile dans le sang. Les patients concernés souffrent souvent de vives démangeaisons et de fatigue. Il arrive aussi que leur peau jaunisse.

En réduisant l'accumulation d'acides biliaires dans l'organisme, le médicament Livmarli permet de soulager les symptômes des patients.

Le syndrome d'Alagille étant une maladie rare qui met en danger la vie des patients, le médicament Livmarli a été autorisé en tant que médicament orphelin (*orphan drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

Swissmedic a autorisé Livmarli pour les patients âgés de 12 mois et plus en vertu de l'article 13 de la loi sur les produits thérapeutiques (LPT). Cela signifie que le médicament est déjà autorisé dans un autre pays ayant institué un contrôle des médicaments équivalent. Pour autant que certaines exigences particulières soient respectées, Swissmedic prend dans ce cas en considération les résultats des examens effectués par les autorités étrangères de contrôle des médicaments concernant la qualité, l'efficacité et la sécurité du médicament en question ainsi que la mesure dans laquelle ces résultats sont transposables à la Suisse. La prise en considération des résultats de procédures d'autorisation étrangères vise à contribuer à ce que des médicaments déjà autorisés à l'étranger soient mis le plus rapidement possible à la disposition des patients en Suisse.

Pour autoriser Livmarli en Suisse, Swissmedic a repris certains résultats de l'examen réalisé par la *Food and Drug Administration* (FDA) américaine (numéro de référence : 4863362) et a seulement procédé à une expertise scientifique indépendante restreinte pour les nourrissons âgés de 3 à 12 mois.

Aussi Swissmedic renvoie-t-il au rapport d'évaluation public de l'autorité de référence dans le *Swiss Public Assessment Report* (SwissPAR) et dans le rapport succinct

d'autorisation établi à partir de ce dernier : www.fda.gov

Action

Le principe actif maralixibat du médicament Livmarli bloque le transporteur spécifique des acides biliaires dans l'intestin. La réab-

sorption des acides biliaires dans l'organisme s'en trouve ainsi diminuée, ce qui réduit leur accumulation dans le foie et dans le sang. Ce mécanisme d'action permet de soulager les démangeaisons.

Administration

Livmarli est un médicament soumis à ordonnance disponible sous forme de solution buvable à 9,5 mg de maralixibat par ml.

La posologie recommandée est de 380 µg/kg de poids corporel une fois par jour, à prendre le matin 30 minutes avant un repas.

La prise commence par une dose de 190 µg/kg administrée une fois par jour ; elle passe à 380 µg/kg une fois par jour au bout

d'une semaine. La dose journalière maximale pour les patients de plus de 70 kg est de 28,5 mg. En cas d'oubli d'une prise, la dose oubliée doit être administrée dès que possible dans les 12 heures suivant l'heure habituelle de prise.

Le médecin doit contrôler les valeurs hépatiques du patient avant le début du traitement et continuer à les surveiller.

Efficacité

L'efficacité de Livmarli a été évaluée dans une étude menée chez 31 patients atteints d'un syndrome d'Alagille et souffrant de démangeaisons. Une période de traitement par le médicament Livmarli de 18 semaines a été suivie d'une phase contrôlée contre placebo¹ de 4 semaines au cours de laquelle certains patients ont poursuivi le traitement par

Livmarli tandis que d'autres ont reçu un placebo.

Les résultats de l'étude réalisée ont démontré un net soulagement des démangeaisons chez les patients ayant reçu Livmarli par rapport au groupe sous placebo.

Précautions, effets indésirables et risques

Livmarli ne doit pas être utilisé en cas d'hypersensibilité au principe actif ou à l'un des excipients.

Les effets indésirables les plus fréquents sont la diarrhée, les douleurs abdominales, les vomissements, la toux, les infections des muqueuses du nez et du pharynx, les infections

de l'oreille, les maux de tête et la carence en vitamines liposolubles.

Les précautions applicables ainsi que les risques et les autres effets secondaires possibles sont énumérés dans l'information destinée aux patients (notice d'emballage) ainsi que dans l'information professionnelle.

¹ Placebo : médicament factice

Justification de la décision d'autorisation

À ce jour, les options thérapeutiques médicamenteuses disponibles pour les patients atteints d'un syndrome d'Alagille qui souffrent de prurit cholestatique sont limitées.

L'étude réalisée a mis en évidence qu'en réduisant les démangeaisons, Livmarli (principe actif : maralixibat) pouvait améliorer la qualité de vie des patients.

Au vu des données disponibles, et lorsque tous les risques et l'ensemble des mesures de précaution à respecter sont pris en considération, les bénéfices offerts par Livmarli sont supérieurs aux risques. Swissmedic a donc autorisé en Suisse le médicament Livmarli, dont le principe actif est le maralixibat.

Informations complémentaires sur le médicament

Information pour les personnes exerçant une profession médicale : [information professionnelle de Livmarli®](#)

Information destinée aux patients (notice d'emballage) : [information destinée aux patients de Livmarli®](#)

Les professionnels de santé sont là pour répondre à toute autre question.

Les présentes informations sont basées sur les informations disponibles à la date de publication du SwissPAR. Les nouvelles connaissances concernant le médicament autorisé ne sont pas intégrées dans le rapport succinct d'autorisation.

Les médicaments autorisés en Suisse sont sous la surveillance de Swissmedic. Swissmedic prendra les mesures qui s'imposent en cas de constatation de nouveaux effets indésirables ou en présence d'autres signaux de sécurité. De plus, Swissmedic recensera et publiera toute nouvelle connaissance susceptible d'avoir un impact sur la qualité, l'efficacité ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.