

PRESSEMITTEILUNG

Reaktion von ADVANZ PHARMA auf den Widerruf der bedingten Marktzulassung für OCALIVA® bei der seltenen Krankheit Primär biliäre Cholangitis (PBC) durch die Europäische Kommission

- OCALIVA® ist der einzige Farnesoid X-Rezeptor (FXR)-Agonist für Patient:innen mit PBC und damit die bisher alleinig zugelassene und verfügbare Zweitlinientherapie in Europa
- ADVANZ PHARMA prüft sämtliche Optionen, um die weitere Versorgung mit OCALIVA® für die betroffenen Patient:innen sicherzustellen

London, UK, und München, 3. September 2024 – ADVANZ PHARMA Holdco Limited (ADVANZ PHARMA oder das Unternehmen), ein pharmazeutisches Unternehmen mit Hauptsitz in Großbritannien, hat heute bekanntgegeben, dass die Europäische Kommission die bedingte Marktzulassung von OCALIVA® (Obeticholsäure) in Europa als Zweitlinientherapie für Patient:innen mit der seltenen Erkrankung Primär biliäre Cholangitis (PBC) widerrufen hat.

Die Entscheidung der Europäischen Kommission beruht auf einer Empfehlung des Ausschusses für Humanarzneimittel (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) der Europäischen Arzneimittel-Agentur (European Medicines Agency, EMA) aus Juni 2024, die bedingte Marktzulassung für OCALIVA® europaweit nach einem Nicht-Pharmakovigilanz-Verfahren gemäß Artikel 20 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 zur Neubewertung des Nutzen-Risiko-Profiles des Medikaments bei PBC zu widerrufen. Diese Entscheidung beruhte nicht auf Sicherheitsbedenken.

ADVANZ PHARMA ist mit der Entscheidung der EU-Kommission nicht einverstanden, denn sie führt dazu, dass Tausende von PBC-Patient:innen, die gut auf OCALIVA® ansprechen, dem erhöhten Risiko eines Krankheitsfortschritts ausgesetzt sind, während alternative Behandlungsoptionen nur begrenzt verfügbar sind. Das Unternehmen prüft derzeit alle Optionen, um den fortgesetzten Zugang zu OCALIVA® zu ermöglichen.

Dr. Steffen Wagner, CEO von ADVANZ PHARMA, kommentierte: „Wir sind mit der Entscheidung der Europäischen Kommission, die bedingte Zulassung für OCALIVA® zu widerrufen, ganz und gar nicht einverstanden. Obeticholsäure ist der einzige FXR-Agonist bei PBC und die bisher einzige zugelassene und verfügbare Zweitlinientherapie in Europa. Dies könnte äußerst negative Auswirkungen auf das Leben Tausender Menschen mit PBC in ganz Europa haben, die über viele Jahre hinweg von dieser wichtigen Therapie profitiert haben. Durch diese Entscheidung sind sie dem erhöhten Risiko eines fortschreitenden Krankheitsverlaufs ausgesetzt, einschließlich schwerwiegender Leberschädigung, Lebertransplantation oder Tod.“

„Wir sind entschlossen, die betroffenen Patientinnen und Patienten zu unterstützen, und werden alle möglichen Wege in Betracht ziehen, um die Verfügbarkeit dieser wichtigen Behandlungsoption aufrechtzuerhalten. Wir werden weiterhin mit den zuständigen EU-Behörden zusammenarbeiten, um sicherzustellen, dass OCALIVA® für die Patientinnen und Patienten, die es benötigen, verfügbar bleibt“, so Wagner weiter.

Das Unternehmen ist der Ansicht, dass die CHMP-Empfehlung die Gesamtheit der verfügbaren Daten zur Wirksamkeit und Sicherheit von OCALIVA® bei PBC nicht angemessen berücksichtigt hat, unter anderem eine Fülle positiver Erkenntnisse aus dem Praxisalltag (Real World Evidence, RWE), die in mehr als sieben Jahren klinischer Anwendung mit über 47.000 Patientenjahren erhoben wurde. Stattdessen stützt sie sich hauptsächlich auf die Analyse einer einzigen randomisierten, plazebokontrollierten Studie (ICPT 747-302; COBALT). Diese wies jedoch zahlreiche Limitationen auf: so entschieden sich u.a. Patienten im Plazebo-Arm verständlicherweise auf die kommerziell verfügbare Therapie umzusteigen, mussten aber im Rahmen der ITT-Methodik (*Intention to Treat*) als Placebo-behandelte Patienten analysiert werden.

Die Ergebnisse der COBALT-Studie, die kürzlich im *American Journal of Gastroenterology*¹ veröffentlicht

¹ https://journals.lww.com/ajg/abstract/9900/cobalt_a_confirmatory_trial_of_obeticholic_acid.1290.aspx

wurden, verdeutlichen die Herausforderungen bei der Durchführung von Langzeitstudien zu seltenen Krankheiten, wenn gleichzeitig Therapien kommerziell verfügbar sind.

Die Patientengemeinschaft, führende Expert:innen, Ärzt:innen und wissenschaftliche Fachgesellschaften für Hepatologie und Gastroenterologie haben gegenüber der Europäischen Kommission ihre Besorgnis darüber zum Ausdruck gebracht, dass durch den Widerruf der bedingten Zulassung von OCALIVA® den Patient:innen eine wichtige Behandlungsmöglichkeit gegen diese lebensbedrohliche seltene Lebererkrankung entzogen wird. OCALIVA® wird von allen großen wissenschaftlichen Fachgesellschaften in ihren klinischen Leitlinien als Zweitlinienbehandlung empfohlen.

Die EMA hat darauf hingewiesen, dass ADVANZ PHARMA – vorbehaltlich lokaler Gesetze und Vorschriften – OCALIVA® in der EU weiterhin im Rahmen eines „Compassionate Access“- oder eines „Named Patient“-Programms für bestehende Patient:innen anbieten kann. ADVANZ PHARMA ist entschlossen, die Betroffenen zu unterstützen und dazu beizutragen, dass ihre Versorgung vorbehaltlich der von den zuständigen nationalen Behörden genehmigten Bestimmungen gewährleistet wird.

OCALIVA®, das im Dezember 2016 von der Europäischen Arzneimittel-Agentur (European Medicines Agency, EMA) bedingt zugelassen worden war, ist derzeit die einzige zugelassene und verfügbare Zweitlinientherapie für Patient:innen mit PBC in Europa. Als einziger zugelassener Farnesoid X-Rezeptor (FXR)-Agonist unterscheidet sich der Wirkmechanismus von OCALIVA® von dem anderer Behandlungen, was es zu einer wichtigen Option für Patient:innen mit PBC macht, einer Erkrankung, bei der die Behandlungsoptionen ohnehin sehr begrenzt sind.

Patient:innen werden gebeten, sich bei Fragen an ihre behandelnde Ärztin oder ihren Arzt zu wenden.

Weitere Informationen sind unter medicalinformation@advanzpharma.com verfügbar.

Über OCALIVA® und PBC

Die Primär biliäre Cholangitis (PBC) ist eine seltene, schwere und progrediente Autoimmunerkrankung, die die Gallengänge in der Leber schädigt. OCALIVA® ist eine Filmtablette, die Obeticholsäure (OCA) enthält, einen selektiven und potenten Agonisten des Farnesoid X-Rezeptors (FXR), der die Gallensäure-, Entzündungs-, Fibrose- und Stoffwechselwege reguliert und die intrazelluläre Konzentration von Gallensäuren in den Hepatozyten verringert. OCALIVA® ist für die Behandlung der PBC in Kombination mit Ursodeoxycholsäure (UDCA) bei Erwachsenen mit unzureichendem Ansprechen auf UDCA oder als Monotherapie bei Erwachsenen mit einer UDCA-Unverträglichkeit angezeigt.

Über ADVANZ PHARMA

ADVANZ PHARMA ist ein weltweit tätiges Pharmaunternehmen, das Spezialpharmazeutika, Krankenhausmedikamente und Therapeutika für seltene Erkrankungen bereitstellt und weiterentwickelt, um das Leben von Patient:innen zu verbessern, die auf diese Medikationen angewiesen sind. Der Hauptsitz des Unternehmens ist London, Großbritannien, der Deutschlandsitz befindet sich in München. ADVANZ PHARMA ist derzeit in mehr als 90 Ländern weltweit vertreten und verfügt über eigene Vertriebsniederlassungen in mehr als 20 Ländern – u.a. in Europa, den USA, Kanada und Australien –, ein Kompetenzzentrum in Mumbai, Indien, sowie ein etabliertes globales Netzwerk von Vertriebs- und Vermarktungspartnern. Das Produktportfolio und die Pipeline von ADVANZ PHARMA umfassen innovative Arzneimittel, Spezialgenerika und -biosimilars sowie Originalpräparate. Sie decken ein breites Spektrum an Therapiegebieten ab, wie Hepatologie, Gastroenterologie, Antiinfektiva, Intensivmedizin, Endokrinologie, Onkologie, ZNS und generell Arzneimittel gegen seltene Erkrankungen. Ziel des Unternehmens ist es, ein Partner erster Wahl für die Vermarktung von Spezialpharmazeutika, Krankenhausmedikamenten und Therapeutika für seltene Erkrankungen in Europa, Kanada und Australien zu sein. Entsprechend diesem Ziel geht ADVANZ PHARMA Partnerschaften mit Biopharma- und Entwicklungsunternehmen ein, um so die Versorgung von Patient:innen mit Medikamenten sicherzustellen. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte unsere Website oder LinkedIn.

Pressekontakt

Paul Janssen

Vice President DACH

Advanz Pharma Specialty Medicine Deutschland GmbH

Rosenheimer Str. 52, 81669 München

E-Mail: Paul.Janssen@advanzpharma.com

www.advanzpharma.com

Eva Bauer

MC Services AG

Telefon: +49-89-210228-0

E-Mail: eva.bauer@mc-services.eu

ADVANZ® PHARMA – Medical Information

Telefon (Deutschland): +49 (0)800 1802 091

Telefon (Österreich): +43 (0)800 298 022

E-Mail: medicalinformation@advanzpharma.com

DE/OCA/NP/0045

▼ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Angehörige von Gesundheitsberufen sind aufgefordert, jeden Verdachtsfall einer Nebenwirkung zu melden. Meldung von Nebenwirkungen an: Advanz Pharma GmbH, Herforder Str. 69, 33602 Bielefeld, Medical Information: Tel: +49 (0)800 180 20 91, E-Mail: medicalinformation@advanzpharma.com und/oder über das nationale Meldesystem (Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte, Abt. Pharmakovigilanz, Kurt-Georg-Kiesinger-Allee 3, D-53175 Bonn, Website: <http://www.bfarm.de>).

Ocaliva 5 mg Filmtabletten/ Ocaliva 10 mg Filmtabletten. Wirkstoff: Obeticholsäure.

Qualitative und quantitative Zusammensetzung: Jede Filmtablette enthält 5 mg bzw. 10 mg Obeticholsäure. **Sonstige Bestandteile:** Tablettenkern: mikrokristalline Cellulose (E 460), Poly(O-carboxymethyl)stärke-Natriumsalz (Typ A), Magnesiumstearat; Tablettenüberzug: Poly(vinylalkohol) (E 1203), Titandioxid (E 171), Macrogol (3350) (E 1521), Talkum (E 553b), Eisen(III)-hydroxid-oxid x H₂O (E 172). **Anwendungsgebiete:** Behandlung der primären biliären Cholangitis (PBC) in Verbindung mit Ursodesoxycholsäure (UDCA) bei Erwachsenen, die unzureichend auf UDCA ansprechen, oder als Monotherapie bei Erwachsenen, die UDCA nicht tolerieren können. **Gegenanzeigen:** Überempfindlichkeit gegen den Wirkstoff oder einen der sonstigen Bestandteile, Patienten mit dekompensierter Zirrhose (z. B. Child-Pugh-Klassifikation B oder C) oder einem früheren Dekompensationsereignis, totaler Gallengangverschluss. **Nebenwirkungen:** *Sehr häufig:* Pruritus, Müdigkeit (Fatigue), Schmerzen und Beschwerden im Abdomen. *Häufig:* Schilddrüsenfunktionsstörung, Schwindel, Herzklopfen, Schmerzen im Mund- und Rachenraum, Verstopfung, Ekzem, Hautausschlag, Gelenkschmerz, peripheres Ödem, Fieber. *Nicht bekannt:* Leberversagen, Bilirubin im Blut erhöht, Ikterus, Leberzirrhose. **Zulassungsinhaber:** ADVANZ PHARMA Limited, Suite 17, Northwood House, Northwood Avenue, Santry, Dublin 9, Irland. **Weitere Angaben:** siehe Fach- und Gebrauchsinformation. **Verschreibungspflichtig. Stand der Information:** 12/2023.