



**Resposta da ADVANZ PHARMA à revogação pela Comissão Europeia da autorização condicional de introdução no mercado na UE de OCALIVA® para o tratamento da Colangite Biliar Primária (CBP), uma doença rara**

- OCALIVA® é o único agonista do recetor farnesóide X (FXR) para doentes com CBP e, até ao momento, a única opção de tratamento em segunda linha aprovada e disponível na Europa
- A ADVANZ PHARMA está a considerar todas as opções para permitir o acesso contínuo aos doentes

**Lisboa, Portugal, 03 de setembro de 2024** – A ADVANZ PHARMA Holdco Limited ("ADVANZ PHARMA" ou "a Companhia"), companhia farmacêutica com sede no Reino Unido, acaba de anunciar que a Comissão Europeia (CE) revogou a autorização condicional de introdução no mercado de OCALIVA® (ácido obeticólico) na Europa para o tratamento de segunda linha em doentes com Colangite Biliar Primária (CBP), uma doença rara.

A decisão da CE baseia-se numa recomendação de junho de 2024, do Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) da Agência Europeia de Medicamentos (EMA), para revogar a autorização condicional de introdução no mercado de OCALIVA® em toda a Europa, na sequência de um procedimento de não farmacovigilância ao abrigo do artigo 20º. Tal recomendação não se baseia em nenhuma preocupação de segurança.

A ADVANZ PHARMA discorda da decisão da CE, que deixa milhares de doentes que vivem com CBP e que respondem bem a OCALIVA® em risco aumentado de progressão da doença com opções de tratamento limitadas. A Companhia está atualmente a considerar todas as possibilidades para ajudar a garantir o acesso continuado a OCALIVA®.

Steffen Wagner, CEO da ADVANZ PHARMA, refere: “Discordamos veementemente da decisão da Comissão Europeia de retirar a autorização condicional de introdução no mercado para OCALIVA®, o único agonista de FXR para doentes com CBP e, até agora, a única opção de tratamento de segunda linha aprovada e disponível na Europa. A retirada de OCALIVA® poderá causar um impacto profundamente negativo na vida de milhares de doentes com CBP em toda a Europa que têm beneficiado deste importante tratamento ao longo de muitos anos. A decisão coloca-os em risco acrescido de progressão da doença, incluindo lesões graves no fígado, transplante hepático ou morte.

Estamos empenhados em apoiar os doentes com CBP e consideraremos todos as possibilidades para manter a disponibilidade desta importante opção de tratamento. Continuaremos a trabalhar com as autoridades relevantes em toda a UE para ajudar a garantir que OCALIVA® permanece disponível para os doentes que dele precisam.”

A Companhia sustenta que a recomendação do CHMP não considerou adequadamente a totalidade dos dados disponíveis que suportam a eficácia e a segurança de OCALIVA® no tratamento da CBP, em particular, a riqueza de evidência positiva do mundo real recolhida ao longo de mais de sete anos de uso clínico, representado mais de 47.000 doentes-ano de experiência em tratamento. Em vez disso, baseou-se, em grande medida, em dados de um único ensaio aleatorizado, controlado por placebo, o Estudo 747-302 (COBALT), que apresentou múltiplas limitações, incluindo o facto de os doentes, no braço do placebo, sem surpresa, terem optado por mudar para a terapêutica comercialmente disponível, mas continuando a ser estudados como doentes tratados com placebo sob a metodologia *Intention to Treat* (ITT).

Os resultados do estudo COBALT, recentemente publicados no *American Journal of Gastroenterology*<sup>1</sup>, realçam os desafios de conduzir estudos de resultados de longo prazo em doenças raras quando as terapêuticas estão comercialmente disponíveis.

A comunidade de doentes, os principais especialistas, médicos e sociedades científicas de Hepatologia e Gastrenterologia fizeram chegar à CE preocupações de que a remoção de OCALIVA® deixará os doentes sem uma opção de tratamento importante para esta doença hepática rara e potencialmente fatal. Todas as principais sociedades científicas recomendam OCALIVA® como opção de tratamento de segunda linha nas suas *guidelines* clínicas.

A EMA refere-se à possibilidade de a ADVANZ PHARMA continuar — sujeita às leis e normas regulamentares locais — a fornecer OCALIVA® na UE através de programas de uso compassivo atualmente existentes ou programas de acesso precoce. A ADVANZ PHARMA está empenhada em apoiar os doentes e garantirá que o fornecimento está disponível, em função das orientações aprovadas pela autoridade nacional competente.

OCALIVA®, aprovado condicionalmente pela EMA em dezembro de 2016, foi a única opção de tratamento de segunda linha aprovada e disponível para doentes com CBP na Europa. Como o único agonista de FXR aprovado, OCALIVA® tem um mecanismo de ação diferente de outros tratamentos, tornando-o uma opção importante para doentes com CBP, uma condição para a qual as modalidades de tratamento já são muito limitadas.

Os doentes devem consultar o médico assistente em caso de dúvidas relacionadas com o tratamento.

Para mais informações, consulte: [medicalinformation@advanzpharma.com](mailto:medicalinformation@advanzpharma.com).

#### **Sobre OCALIVA® e CBP**

A colangite biliar primária (CBP) é uma doença autoimune rara, grave e progressiva que danifica as vias biliares do fígado. OCALIVA® é um comprimido revestido por película que contém ácido obeticólico (OCA), um agonista seletivo e potente do recetor farnesoide X (FXR) regulador das vias inflamatória, fibrótica e metabólica dos ácidos biliares e diminui as concentrações intracelulares de ácidos biliares nos hepatócitos. OCALIVA® está indicado para o tratamento da colangite biliar primária em combinação com o ácido ursodesoxicólico (UDCA) em adultos que não respondem adequadamente ao UDCA ou como monoterapia em adultos intolerantes ao UDCA.

#### **Sobre a ADVANZ PHARMA**

A ADVANZ PHARMA é uma companhia farmacêutica global que tem como propósito melhorar a vida dos doentes, através da disponibilização e melhoria de medicamentos especializados, hospitalares e para doenças raras de que estes dependem. A nossa sede está situada em Londres, no Reino Unido. Fornecemos produtos para mais de 90 países de todo

o mundo e temos presença comercial direta em mais de 20 países, incluindo países-chave na Europa, nos EUA, no Canadá e na Austrália, um Centro de Excelência em Mumbai, na Índia, bem como uma rede estabelecida de distribuição global e de parceiros de comercialização. O portfólio de produtos e o pipeline da ADVANZ PHARMA inclui medicamentos inovadores, genéricos especializados e biossimilares, e marcas originais. Os nossos produtos abrangem uma vasta gama de áreas terapêuticas, incluindo hepatologia, gastroenterologia, anti-infecciosos, cuidados intensivos, endocrinologia, oncologia, SNC e, mais amplamente, medicamentos para doenças raras. A nossa ambição é sermos um parceiro de eleição para a comercialização de medicamentos especializados, hospitalares e para doenças raras na Europa, Canadá e Austrália. Em linha com a nossa ambição, estamos a estabelecer parcerias com empresas biofarmacêuticas e de desenvolvimento para disponibilizar os medicamentos aos doentes. Para mais informações, visite o nosso [site](#) ou o [LinkedIn](#).

**Mais informações para a imprensa:**

ATREVIA Portugal

Maria João Serra

[mmoreira@atrevia.com](mailto:mmoreira@atrevia.com)

M. 914 027 327

Carina Monteiro

[cmonteiro@atrevia.com](mailto:cmonteiro@atrevia.com)

M. 913 054 785