

## **Información de la AEMPS sobre Ocaliva (ácido obeticólico): el CHMP recomienda la revocación de la autorización de comercialización**

**Fecha de publicación: 01 de agosto de 2024**

Categoría: medicamentos de uso humano

Referencia: MUH, 13/2024

**Esta decisión se ha tomado tras la revisión de los datos disponibles del estudio 747-302 en el que se comparó este medicamento con placebo, así como los datos de estudios de soporte y datos de vida real**

**En este estudio, que era una de las obligaciones específicas impuestas en el momento de la autorización condicional, no se ha observado diferencia en cuanto a la eficacia entre los pacientes tratados con Ocaliva y los que recibieron placebo. Por ello, la eficacia del medicamento en la indicación autorizada no se ha podido confirmar**

**Se informa a los profesionales sanitarios que no deben iniciarse nuevos tratamientos con este medicamento utilizado para tratar la colangitis biliar primaria (CBP)**

**Los pacientes que ya estuvieran en tratamiento con este medicamento recibirán información de los profesionales sanitarios sobre otras opciones disponibles**

**La AEMPS informará de la decisión final de la Comisión Europea y, en su caso, de la fecha efectiva de la retirada de la comercialización**

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP, por sus siglas en inglés), de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) y del que forma parte la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), ha recomendado la revocación de la autorización de comercialización de Ocaliva (ácido obeticólico). Este medicamento se utiliza para el tratamiento de pacientes adultos con colangitis biliar primaria (CBP), una enfermedad autoinmune que causa la destrucción gradual de los conductos biliares del hígado, lo que puede provocar insuficiencia hepática y aumento del riesgo de cáncer de hígado.

En el momento de la autorización condicional de comercialización, Ocaliva demostró que reducía los niveles sanguíneos de fosfatasa alcalina (ALP) y bilirrubina en pacientes con CBP, lo que se entendió como una mejora del estado hepático de los pacientes. Sin embargo, una de las obligaciones específicas impuestas en el momento de la autorización condicional de este medicamento, era confirmar su beneficio en estudios adicionales. En el estudio 747-302 realizado, diseñado para confirmar los beneficios clínicos y la seguridad de Ocaliva en pacientes

que no responden adecuadamente al ácido ursodesoxicólico (UDCA, otro medicamento para la CBP) o que no pueden tomarlo, no se ha observado diferencia en cuanto a la eficacia entre los pacientes tratados con este medicamento y los que recibieron placebo. Por ello, la eficacia de Ocaliva en la indicación autorizada no se ha podido confirmar.

Esta recomendación del CHMP tiene lugar tras la revisión de los datos disponibles bajo el procedimiento de arbitraje de acuerdo con el artículo 20 del Reglamento (CE) 726/2004, mediante el cual la Comisión Europea (CE) solicitó al CHMP que evaluase la evidencia disponible y tomase una decisión en relación con el balance beneficio/riesgo del medicamento.

Tras revisar la evidencia disponible, el CHMP ha concluido que el beneficio clínico de Ocaliva no se ha confirmado. El estudio 747-302 no ha demostrado que fuera más eficaz que el placebo en cuanto al número de pacientes cuya enfermedad empeoró o que fallecieron, tanto en la población global como en el subgrupo de pacientes con CBP en fase temprana.

Además de los resultados de este estudio, el CHMP ha revisado otros datos disponibles, incluyendo datos de vida real y de otros estudios de soporte aportados por el laboratorio (denominado titular de la autorización de comercialización o TAC), así como información presentada por profesionales sanitarios y asociaciones de pacientes.

Los datos de los estudios de soporte y datos de vida real aportados por el TAC no se han considerado suficientes para confirmar los beneficios de Ocaliva. Por tanto, el CHMP ha concluido que los beneficios de este medicamento no superan sus riesgos y recomienda la revocación de la autorización de comercialización en la Unión Europea (UE).

En su revisión, el CHMP ha consultado a un grupo de expertos en el tratamiento de enfermedades hepáticas y ha tenido en cuenta su opinión en su recomendación final. La opinión del CHMP se enviará a la CE, que emitirá una decisión final legalmente vinculante para todos los Estados miembros de la UE.

Por su parte, la AEMPS informará de la decisión final de la CE y, en su caso, de la fecha efectiva de la retirada de la comercialización de Ocaliva.

---



## Información para pacientes

---

Ocaliva se aprobó para el tratamiento de la colangitis biliar primaria con la condición de que el laboratorio llevara a cabo un estudio para confirmar su eficacia.

Dicho estudio no ha demostrado que Ocaliva sea más eficaz que el placebo en cuanto al número de pacientes cuya enfermedad empeoró o que fallecieron.

El CHMP ha recomendado que se retire Ocaliva del mercado en la UE porque se considera que sus beneficios ya no compensan sus riesgos.

Una vez esta recomendación se confirme por la CE, Ocaliva dejará de estar disponible en la UE. Hasta ese momento, el laboratorio podrá seguir suministrado el medicamento a los pacientes que actualmente estuvieran recibiendo. Esta información se actualizará tras la decisión de la CE. Si está recibiendo tratamiento con Ocaliva, debe hablar con su médico o médica sobre su tratamiento.



## Información para profesionales sanitarios

---

Una revisión de los datos disponibles ha concluido que no se ha confirmado la eficacia de Ocaliva, utilizado para tratar la colangitis biliar primaria (CBP).

El estudio 747-302 no ha mostrado diferencias entre Ocaliva y placebo en la variable primaria compuesta de muerte, trasplante hepático o descompensación hepática en pacientes con CBP que no responden o son intolerantes al ácido ursodesoxicólico (HR 1,01 [IC 95%: 0,68; 1,51], valor p: 0,954).

El CHMP ha recomendado la revocación de la autorización de Ocaliva en la UE porque se considera que sus beneficios no superan los riesgos.

Una vez esta recomendación se confirme por la CE, Ocaliva dejará de estar disponible en la UE. Hasta ese momento, el laboratorio podrá seguir suministrado el medicamento a los pacientes que actualmente estuvieran recibiendo. Esta información se actualizará tras la decisión de la CE.

No deben iniciarse nuevos tratamientos con Ocaliva. Para los pacientes actualmente en tratamiento, deben considerarse las alternativas disponibles.

Se enviará una carta a todos los profesionales sanitarios que prescriban, dispensen o administren este medicamento.