



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/96192/2018  
EMA/H/C/004093

## Ocaliva (*ácido obeticólico*)

Información general sobre Ocaliva y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

### ¿Qué es Ocaliva y para qué se utiliza?

Ocaliva está indicado para el tratamiento de adultos con una enfermedad hepática denominada colangitis biliar primaria.

La colangitis biliar primaria es una enfermedad autoinmunitaria en la que se produce una destrucción gradual de los pequeños conductos biliares en el hígado. Estos conductos transportan un líquido llamado bilis desde el hígado hasta el intestino, donde se utiliza para ayudar a digerir las grasas. Como consecuencia de la destrucción de los conductos, la bilis se acumula en el hígado y produce daños en el tejido hepático. El resultado puede ser la formación de tejido cicatricial y la aparición de insuficiencia hepática, así como un posible aumento del riesgo de cáncer de hígado.

Ocaliva contiene el principio activo ácido obeticólico. Se utiliza en combinación con otro medicamento, el ácido ursodesoxicólico (AUDC), en pacientes que no responden adecuadamente al AUDC en monoterapia, o en adultos que no toleran el AUDC.

La colangitis biliar primaria es una enfermedad «rara», por lo que Ocaliva fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 27 de julio de 2010. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano aquí.

[ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

### ¿Cómo se usa Ocaliva?

Ocaliva se presenta en comprimidos (5 y 10 mg) y solo se podrá dispensar con receta médica. La dosis inicial recomendada es de 5 mg una vez al día o de 5 mg una vez a la semana, dependiendo del grado de trastorno hepático del paciente (que deberá determinarse antes de iniciar el tratamiento con Ocaliva). Al cabo de unos meses, si Ocaliva es bien tolerado se podrá incrementar la dosis. Se puede reducir la dosis o considerar la interrupción del tratamiento en los pacientes que presenten un picor de piel intolerable (un posible efecto secundario de Ocaliva).

Para más información sobre el tratamiento con Ocaliva, el paciente debe leer el prospecto o consultar a su veterinario o farmacéutico.



## ¿Cómo actúa Ocaliva?

El principio activo de Ocaliva, el ácido obeticólico, es una forma modificada de un ácido biliar (los componentes principales de la bilis). Actúa principalmente uniéndose a unos receptores presentes en el hígado y el intestino (receptores X farnesoides) que controlan la producción de bilis. Al unirse a estos receptores, Ocaliva reduce la producción de bilis en el hígado, con lo que evita que se acumule y dañe el tejido hepático.

## ¿Qué beneficios ha demostrado tener Ocaliva en los estudios realizados?

Ocaliva se comparó con un placebo (un tratamiento ficticio) en un estudio principal realizado en 217 adultos con colangitis biliar primaria que habían tomado AUCD durante al menos 1 año o que no lo habían tolerado. La valoración de la eficacia se basó en el número de pacientes que presentaron una disminución de los niveles sanguíneos de bilirrubina y fosfatasa alcalina (marcadores de daño hepático) de al menos un 15 % (en el caso de la FA) y por debajo de un cierto valor considerado normal (en el caso de la bilirrubina) después de 1 año de tratamiento.

En dicho estudio se demostró que Ocaliva era más eficaz que el placebo para reducir los niveles de bilirrubina y FA en sangre: los niveles disminuyeron lo necesario en el 47 % (34 de 73) de los pacientes tratados con Ocaliva 10 mg y en el 46 % (32 de 70) de los pacientes tratados con dosis crecientes de Ocaliva (desde 5 mg hasta 10 mg), en comparación con el 10 % (7 de 73) de los pacientes que recibieron el placebo.

## ¿Cuál es el riesgo asociado a Ocaliva?

Los efectos secundarios más frecuentes de Ocaliva son picor (que puede afectar a más de 6 de cada 10 personas) y cansancio (puede afectar a más de 2 de cada 10 personas). El picor es también el efecto secundario más frecuente que puede motivar la interrupción del tratamiento. En la mayoría de los casos observados, el picor apareció durante el primer mes de tratamiento y tendió a remitir con el tiempo sin necesidad de suspender el tratamiento. Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados sobre Ocaliva, consultar el prospecto.

Ocaliva no debe usarse en pacientes cuyos conductos biliares estén completamente obstruidos. La lista completa de restricciones se puede consultar en el prospecto.

## ¿Por qué se ha autorizado Ocaliva en la UE?

Los pacientes con colangitis biliar primaria tienen pocas opciones de tratamiento en la actualidad. Se ha demostrado que Ocaliva reduce los niveles de bilirrubina y FA en sangre en los pacientes con colangitis biliar primaria, incluidos los que no toleran el UDCA. El grado de disminución de los niveles de bilirrubina y FA fue indicativo de una mejoría del estado del hígado. No obstante, los beneficios clínicos de Ocaliva todavía tienen que demostrarse en futuros estudios. El perfil de seguridad del medicamento se consideró favorable, con efectos secundarios que fueron tolerables y pudieron gestionarse con tratamiento de apoyo (por ejemplo para el picor) y ajustes de la dosis. Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Ocaliva son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

Ocaliva se ha autorizado con una «aprobación condicional». Esta modalidad de aprobación significa que la empresa deberá proporcionar más información sobre este medicamento. Cada año, la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará toda la información nueva de que se disponga y el presente resumen se actualizará cuando sea necesario.

## **¿Qué información falta todavía sobre Ocaliva?**

Dado que a Ocaliva se le ha concedido una autorización condicional, la compañía que comercializa Ocaliva proporcionará datos adicionales de dos estudios para confirmar la eficacia y la seguridad del medicamento. El primer estudio se ha diseñado para demostrar el beneficio clínico de Ocaliva, mientras que en el segundo estudio se investigarán los beneficios de Ocaliva en pacientes con enfermedad hepática moderada o grave.

## **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Ocaliva?**

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Ocaliva se han incluido en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y el Prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Ocaliva se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados con Ocaliva son evaluados cuidadosamente, adoptándose las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

## **Otras informaciones sobre Ocaliva**

Ocaliva ha recibido una autorización de comercialización válida en toda la UE el 12 de diciembre de 2016.

Se puede obtener más información sobre el uso actual de Ocaliva en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Fecha de la última actualización del presente resumen: 03-2018.