



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/295840/2021
EMA/H/C/004691

Bylvay (*odevixibat*)

Přehled pro přípravek Bylvay a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Bylvay a k čemu se používá?

Přípravek Bylvay je léčivý přípravek k léčbě pacientů ve věku od 6 měsíců s progresivní familiární intrahepatální cholestázou (PFIC), což je vzácný typ onemocnění jater, při kterém se v játrech hromadí žlučové kyseliny. Žlučové kyseliny jsou složkou žluči, což je tekutina vytvářená v játrech, která pomáhá vstřebávat tuky ze střev.

Přípravek Bylvay obsahuje léčivou látku odevixibat.

Jak se přípravek Bylvay používá?

Přípravek Bylvay je dostupný ve formě tobolek. Doporučená dávka je 40 mikrogramů na kilogram tělesné hmotnosti. Tobolky by se měly užívat jednou denně v ranních hodinách. Mohou se užívat vcelku nebo mohou být otevřeny a vysypány na pokrm. Pokud léčivý přípravek po třech měsících dostatečně neúčinkuje, může ošetřující lékař zvýšit dávku až na 120 mikrogramů na kilogram tělesné hmotnosti.

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit a sledovat lékař, který má zkušenosti s léčbou progresivní familiární intrahepatální cholestázy. Více informací o používání přípravku Bylvay naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Bylvay působí?

Léčivá látka v přípravku Bylvay, odevixibat, ve střevech blokuje působení bílkoviny (známé jako IBAT), která přenáší žlučové kyseliny ze střev do jater. Blokováním působení bílkoviny IBAT odevixibat snižuje množství žlučových kyselin, které se přenáší ze střev do jater. To zabraňuje hromadění žlučových kyselin a poškození jaterní tkáně.

Jaké přínosy přípravku Bylvay byly prokázány v průběhu studií?

V jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 62 pacientů ve věku od 6 měsíců do 18 let, byl přípravek Bylvay v rámci snižování závažnosti progresivní familiární intrahepatální cholestázy účinnější než placebo (neúčinný přípravek). Hlavním měřítkem účinnosti byl počet pacientů, u nichž po 24 týdnech léčby došlo ke snížení hladiny žlučových kyselin v krvi alespoň o 70 %.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands
Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us
Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Léčba přípravkem Bylvay vedla k požadovanému snížení u přibližně 44 % (10 z 23) pacientů, kterým byla podávána standardní dávka (40 mikrogramů na kilogram tělesné hmotnosti denně), a u přibližně 21 % (4 z 19) pacientů, kterým byla podávána maximální denní dávka (120 mikrogramů na kilogram tělesné hmotnosti denně), ve srovnání s 0 % (0 z 20) pacientů užívajících placebo. Studie rovněž prokázala, že přípravek Bylvay může zmírnit příznaky, například svědění, a zabránit opožděnému růstu.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Bylvay?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Bylvay (které mohou postihnout až 1 osobu z 10) jsou řídká stolice, průjem, bolest břicha a zvětšení jater. Úplný seznam nežádoucích účinků přípravku Bylvay je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Bylvay registrován v EU?

Jedna hlavní studie prokázala, že přípravek Bylvay je účinný při snižování množství žlučových kyselin v krvi u pacientů s progresivní familiární intrahepatální cholestázou. Přípravek Bylvay byl účinný rovněž při zmírňování známek a příznaků syndromu progresivní familiární intrahepatální cholestázy, například svědění. Vzhledem k tomu, že progresivní familiární intrahepatální cholestáza je velmi vzácné onemocnění, studie byla malá, ale z dostupných krátkodobých údajů vyplývá, že přípravek Bylvay může oddálit progresi onemocnění a potřebu chirurgického zákroku a/nebo transplantace jater. Dosud zaznamenané nežádoucí účinky jsou považovány za zvladatelné. Vzhledem k závažnosti onemocnění a nedostatku stávajících možností léčby Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Bylvay převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravek Bylvay byl registrován za „výjimečných okolností“. Znamená to, že vzhledem k tomu, že tato indikace se vyskytuje tak vzácně, nebylo možné o přípravku získat úplné informace. Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento přehled bude podle potřeby aktualizován.

Jaké informace o přípravku Bylvay nebyly dosud předloženy?

Jelikož přípravek Bylvay byl registrován za výjimečných okolností, společnost, která přípravek Bylvay dodává na trh, provede studii s cílem předložit údaje o jeho dlouhodobé účinnosti. Studie se rovněž zaměří na to, zda léčba přípravkem Bylvay oddaluje chirurgický zákrok související s játry a/nebo transplantaci jater u pacientů s progresivní familiární intrahepatální cholestázou.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Bylvay?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Bylvay, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Bylvay průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Bylvay jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Bylvay

Další informace o přípravku Bylvay jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/bylvay