



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Bylvay (*odevixibat*)

Oversigt over Bylvay, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Bylvay, og hvad anvendes det til?

Bylvay er et lægemiddel til behandling af patienter i alderen 6 måneder og derover, som lider af progressiv familiær intrahepatisk kolestase (PFIC), en sjælden type leversygdom, hvor galdesyre ophobes i leveren. Galdesyre er en bestanddel af galde — en væske, der produceres i leveren, og som hjælper med at optage fedt fra tarmen.

Bylvay indeholder det aktive stof odevixibat.

Hvordan anvendes Bylvay?

Bylvay leveres som kapsler. Den anbefalede dosis er 40 mikrogram pr. kg legemsvægt. Kapslerne bør tages én gang dagligt om morgenen. De kan tages hele, eller de kan åbnes og drysses på maden. Hvis lægemidlet ikke virker godt nok efter tre måneder, kan den behandlende læge øge dosen op til 120 mikrogram pr. kg legemsvægt.

Lægemidlet fås kun på recept, og behandlingen bør indledes og overvåges af en læge, der har erfaring med behandling af PFIC. Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Bylvay, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Bylvay?

Det aktive stof i Bylvay, odevixibat, blokerer virkningen af et protein i tarmen (kaldet IBAT), der transporterer galdesyre fra tarmene til leveren. Ved at blokere virkningen af IBAT reducerer odevixibat mængden af galdesyre, der transporteres fra tarmene til leveren. Dette vil forhindre, at der ophobes galdesyre, og at der sker skade på levervævet.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Bylvay?

I et hovedstudie med deltagelse af 62 patienter i alderen 6 måneder — 18 år, viste Bylvay sig at være mere effektivt end placebo (en uvirksom behandling) til at reducere sværhedsgraden af PFIC. Virkningen blev hovedsageligt bedømt på antallet af patienter, hvor indholdet af galdesyre i blodet faldt med mindst 70 % efter 24 ugers behandling.



Behandling med Bylvay førte til den nødvendige reduktion hos ca. 44 % (10 ud af 23) af de patienter, der fik standarddosen (40 mikrogram pr. kg legemsvægt pr. dag), og hos ca. 21 % (4 ud af 19) af de patienter, der fik den maksimale daglige dosis (120 mikrogram pr. kg legemsvægt pr. dag), mod 0 % (0 ud af 20) af dem, der fik placebo. Studiet viste også, at Bylvay kan forbedre symptomer som kløe og forhindre forsinket vækst.

Hvilke risici er der forbundet med Bylvay?

De hyppigste bivirkninger ved Bylvay (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er blød afføring, diarré, mavesmerter og forstørret lever. Den fuldstændige liste over bivirkninger ved Bylvay fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor er Bylvay godkendt i EU?

Et hovedstudie har vist, at Bylvay er effektivt til at reducere mængden af galdesyre i blodet hos patienter med PFIC. Bylvay var også effektivt til at mindske tegn og symptomer på PFIC, såsom kløe. Da PFIC er en meget sjælden sygdom, var studiet lille, men de foreliggende korttidsdata tydede på, at Bylvay kunne forsinke sygdommens fremadskriden og behovet for operation og/eller levertransplantation. De bivirkninger, der er set indtil nu, anses for at være håndterbare. Fordi sygdommen er alvorlig, og der er mangel på behandlingsmuligheder, konkluderede Det Europæiske Lægemiddelagentur, at fordelene ved Bylvay opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Bylvay er godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det grundet sygdommens sjældenhed ikke har været muligt at indhente fyldestgørende information om Bylvay. Hvert år gennemgår Det Europæiske Lægemiddelagentur al ny information, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt dette sammendrag.

Hvilke oplysninger afventes der stadig for Bylvay?

Da Bylvay er godkendt under særlige omstændigheder, vil virksomheden, der markedsfører Bylvay, gennemføre et studie for at fremskaffe data om Bylvays effektivitet på lang sigt. Studiet vil også fokusere på, om behandling med Bylvay forsinker leverrelateret kirurgi og/eller levertransplantation hos PFIC-patienter.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Bylvay?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Bylvay.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Bylvay løbende overvåget. Formodede bivirkninger ved Bylvay vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Bylvay

Yderligere information om Bylvay findes på agenturets websted under:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/bylvay