



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Bylway (*Odevixibat*)

Übersicht über Bylway und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Bylway und wofür wird es angewendet?

Bylway ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Patienten ab einem Alter von 6 Monaten mit progressiver familiärer intrahepatischer Cholestase (PFIC), einer seltenen Art von Lebererkrankung, bei der sich Gallensäuren in der Leber ansammeln. Gallensäuren sind ein Bestandteil der Galle, einer in der Leber gebildeten Flüssigkeit, die hilft, Fette aus dem Darm zu absorbieren.

Bylway enthält den Wirkstoff Odevixibat.

Wie wird Bylway angewendet?

Bylway ist als Kapseln erhältlich. Die empfohlene Dosis beträgt 40 Mikrogramm pro Kilogramm Körpergewicht. Die Kapseln sollten einmal täglich morgens eingenommen werden. Sie können ganz eingenommen oder geöffnet und auf die Nahrung gestreut werden. Wenn das Arzneimittel nach drei Monaten nicht ausreichend wirkt, kann der behandelnde Arzt die Dosis auf bis zu 120 Mikrogramm pro Kilogramm Körpergewicht erhöhen.

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem Arzt eingeleitet und überwacht werden, der Erfahrung in der Behandlung von PFIC besitzt. Weitere Informationen zur Anwendung von Bylway entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Bylway?

Der Wirkstoff in Bylway, Odevixibat, blockiert die Wirkungen eines Proteins im Darm (IBAT), das Gallensäure aus dem Darm in die Leber transportiert. Indem es die Wirkung des IFAT blockiert, verringert Odevixibat die Menge an Gallensäure, die vom Darm in die Leber transportiert wird. Dies verhindert die Ansammlung von Gallensäuren und eine Schädigung des Lebergewebes.

Welchen Nutzen hat Bylway in den Studien gezeigt?

In einer Hauptstudie, an der 62 Patienten im Alter von 6 Monaten bis 18 Jahren teilnahmen, verringerte Bylway die Schwere der PFIC wirksamer als ein Placebo (eine Scheinbehandlung). Der

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



Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Anzahl der Patienten, deren Gallensäurespiegel im Blut nach 24-wöchiger Behandlung um mindestens 70 % sank.

Die Behandlung mit Bylvay führte bei etwa 44 % (10 von 23) der Patienten, die die Standarddosis (40 Mikrogramm pro Kilogramm Körpergewicht pro Tag) erhielten, und bei etwa 21 % (4 von 19) der Patienten, die die Tageshöchstdosis (120 Mikrogramm pro Kilogramm Körpergewicht pro Tag) erhielten, zu der erforderlichen Verringerung, verglichen mit 0% (0 von 20) der Patienten, die Placebo erhielten. Die Studie zeigte außerdem, dass Bylvay Symptome wie Juckreiz lindern und verzögertes Wachstum verhindern kann.

Welche Risiken sind mit Bylvay verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Bylvay (die bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind weicher Stuhl, Durchfall, Bauchschmerzen und eine vergrößerte Leber. Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Bylvay berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Bylvay in der EU zugelassen?

Eine Hauptstudie hat gezeigt, dass Bylvay bei der Reduzierung der Gallensäuremenge im Blut von Patienten mit PFIC wirksam ist. Bylvay war auch bei der Verringerung der Anzeichen und Symptome von PFIC wie Juckreiz wirksam. Da es sich bei PFIC um eine sehr seltene Erkrankung handelt, war die Studie klein, aber die verfügbaren Kurzzeitdaten wiesen darauf hin, dass Bylvay das Fortschreiten der Erkrankung und die Notwendigkeit einer Operation und/oder Lebertransplantation verzögern könnte. Die bislang beobachteten Nebenwirkungen werden als beherrschbar erachtet. Angesichts der Schwere der Erkrankung und des Mangels an bestehenden Behandlungen gelangte die Europäische Arzneimittel-Agentur zu dem Schluss, dass der Nutzen von Bylvay gegenüber den Risiken überwiegt und dass es zur Anwendung in der EU zugelassen werden kann.

Bylvay wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Tatsache, dass die Indikation so selten auftritt, nicht möglich war, vollständige Informationen über das Arzneimittel zu erhalten. Die Europäische Arzneimittel-Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Zusammenfassung wird gegebenenfalls aktualisiert.

Welche Informationen werden für Bylvay noch erwartet?

Da Bylvay unter außergewöhnlichen Umständen zugelassen wurde, wird das Unternehmen, das Bylvay in Verkehr bringt, eine Studie durchführen, um Daten zur langfristigen Wirksamkeit von Bylvay bereitzustellen. Ein weiterer Schwerpunkt der Studie wird sein, ob die Behandlung mit Bylvay die leberbezogene Operation und/oder die Lebertransplantation bei PFIC-Patienten verzögert.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Bylvay ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Bylvay, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Bylvay kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Bylvay werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Bylvay

Weitere Informationen zu Bylvay finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

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