



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Bylvay (*odevixibat*)

Ανασκόπηση του Bylvay και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

### Τι είναι το Bylvay και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Bylvay είναι φάρμακο για τη θεραπεία ασθενών ηλικίας 6 μηνών και άνω με προοδευτική οικογενή ενδοηπατική χολόσταση (PFIC), μια σπάνια μορφή ηπατικής νόσου κατά την οποία σχηματίζονται στο ήπαρ χολικά οξέα. Τα χολικά οξέα είναι συστατικό της χολής. Είναι υγρό που παράγεται στο ήπαρ και συμβάλλει στην απορρόφηση των λιπών από το έντερο.

Το Bylvay περιέχει τη δραστική ουσία odevixibat.

### Πώς χρησιμοποιείται το Bylvay;

Το Bylvay διατίθεται υπό μορφή καψακίων. Η συνιστώμενη δόση είναι 40 μικρογραμμάρια ανά κιλό σωματικού βάρους. Τα καψάκια πρέπει να λαμβάνονται μία φορά την ημέρα το πρωί. Μπορούν να λαμβάνονται ολόκληρα ή μπορούν να ανοίγονται και να αναμειγνύονται με τροφή. Εάν το φάρμακο δεν είναι αρκετά αποτελεσματικό μετά από τρεις μήνες, ο θεράπων ιατρός μπορεί να αυξήσει τη δόση μέχρι 120 μικρογραμμάρια ανά κιλό σωματικού βάρους.

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη και η επίβλεψη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με πείρα στη διαχείριση του PFIC. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Bylvay, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

### Πώς δρα το Bylvay;

Η δραστική ουσία του Bylvay, η odevixibat, αναστέλλει τη δράση μιας πρωτεΐνης του εντέρου (γνωστής ως IBAT) η οποία μεταφέρει χολικά οξέα από τα έντερα στο ήπαρ. Αναστέλλοντας τη δράση της IBAT, η odevixibat μειώνει την ποσότητα των χολικών οξέων που μεταφέρονται από τα έντερα στο ήπαρ. Αυτό αποτρέπει τη συσσώρευση των χολικών οξέων και τη βλάβη του ηπατικού ιστού.

### Ποια είναι τα οφέλη του Bylvay σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Bylvay ήταν αποτελεσματικότερο από το εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) στη μείωση της σοβαρότητας του PFIC σε μία κύρια μελέτη στην οποία μετείχαν 62 ασθενείς ηλικίας 6 μηνών έως 18 ετών. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας βασίστηκε στον αριθμό των ασθενών των

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



οποίων τα επίπεδα χολικών οξέων στο αίμα μειώθηκαν κατά τουλάχιστον 70% ύστερα από 24 εβδομάδες θεραπείας.

Η θεραπεία με Bylvay οδήγησε στην απαιτούμενη μείωση στο 44% περίπου (10 από τους 23) των ασθενών που έλαβαν την συνήθη δόση (40 μικρογραμμάρια ανά κιλό σωματικού βάρους την ημέρα) και στο 21% περίπου (4 από τους 19) των ασθενών που έλαβαν τη μέγιστη ημερήσια δόση (120 μικρογραμμάρια ανά κιλό σωματικού βάρους την ημέρα), σε σύγκριση με 0% (0 από τους 20) των ασθενών που έλαβαν εικονικό φάρμακο. Η μελέτη κατέδειξε επίσης ότι το Bylvay μπορεί να βελτιώσει συμπτώματα, όπως ο κνησμός, και να αποτρέψει την καθυστερημένη ανάπτυξη.

### **Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Bylvay;**

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Bylvay (ενδέχεται να εμφανιστούν σε έως και 1 στα 10 άτομα) είναι μαλακά κόπρανα, διάρροια, κοιλιακό άλγος και διόγκωση του ήπατος. Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών που έχουν αναφερθεί με το Bylvay, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

### **Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Bylvay στην ΕΕ;**

Μία βασική μελέτη κατέδειξε ότι το Bylvay είναι αποτελεσματικό στη μείωση της ποσότητας χολικών οξέων στο αίμα ασθενών με PFIC. Το Bylvay ήταν επίσης αποτελεσματικό στη μείωση των σημείων και συμπτωμάτων του PFIC, όπως ο κνησμός. Δεδομένου ότι το PFIC είναι μια πολύ σπάνια νόσος, η μελέτη ήταν μικρή αλλά τα βραχυπρόθεσμα διαθέσιμα δεδομένα έδειξαν ότι το Bylvay θα μπορούσε να καθυστερήσει την εξέλιξη της νόσου και την ανάγκη χειρουργικής επέμβασης ή/και μεταμόσχευσης ήπατος. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που έχουν παρατηρηθεί μέχρι σήμερα θεωρούνται διαχειρίσιμες. Δεδομένης της σοβαρότητας της πάθησης και της έλλειψης υφιστάμενων θεραπειών, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Bylvay υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Το Bylvay εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων». Αυτό σημαίνει ότι, επειδή η ένδειξη απαντάται τόσο σπάνια, δεν κατέστη δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το φάρμακο. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα περίληψη θα ενημερώνεται αναλόγως.

### **Ποια στοιχεία για το Bylvay αναμένεται να υποβληθούν;**

Δεδομένου ότι το Bylvay εγκρίθηκε με τη διαδικασία των εξαιρετικών περιστάσεων, η εταιρεία που εμπορεύεται το Bylvay θα διενεργήσει μελέτη για την παροχή δεδομένων σχετικά με τη μακροχρόνια αποτελεσματικότητα του Bylvay. Η μελέτη θα εστιάσει επίσης στο κατά πόσον η θεραπεία με Bylvay καθυστερεί τις χειρουργικές επεμβάσεις που σχετίζονται με το ήπαρ και/ή τη μεταμόσχευση ήπατος σε ασθενείς με PFIC.

### **Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Bylvay;**

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του φαρμάκου συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Bylvay.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Bylvay τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται με το Bylvay θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

### **Λοιπές πληροφορίες για το Bylvay**

Περισσότερες πληροφορίες για το Bylvay διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/bylvay](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/bylvay)