



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Bylvay (odeviksibaat)

Ülevaade ravimist Bylvay ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Bylvay ja milleks seda kasutatakse?

Bylvay on ravim, mida kasutatakse vähemalt 6-kuuste patsientide raviks, kellel on progresseeruv perekondlik intrahepaatiline kolestaas (PFIC). See on harvaesinev maksahaigus, mille korral maksas kogunevad sapphapped. Sapphapped on sapi komponent; sapp on maksas tekkiv seedenõre, mis soodustab rasvade seedimist soolestikus.

Bylvay sisaldab toimeainena odeviksibaati.

Kuidas Bylvayd kasutatakse?

Bylvayd turustatakse kapslitena. Soovitav annus on 40 µg kehamassi kg kohta (µg/kg). Kapsleid võetakse üks kord ööpäevas hommikuti. Need võib neelata tervelt või avada ja raputada toidule. Kui ravim ei toimi kolme kuu jooksul piisavalt hästi, võib raviarst suurendada annust kuni annuseni 120 µg/kg.

Bylvay on retseptiravim. Ravi peab alustama ja jälgima progresseeruva perekondliku intrahepaatilise kolestaasi ravis kogenud arst. Lisateavet Bylvay kasutamise kohta saate pakendi infolehest või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Bylvay toimib?

Bylvay toimeaine odeviksibaat blokeerib soolevalgu IBAT toime. See valk transpordib sapphapet soolestikust maksa. IBATi toimet blokeerides vähendab odeviksibaat soolestikust maksa transporditava sapphappe kogust. See takistab sapphappete kogunemist ja maksakoe kahjustumist.

Milles seisneb uuringute põhjal Bylvay kasulikkus?

Bylvay oli progresseeruva perekondliku intrahepaatilise kolestaasi raskuse vähendamisel efektiivsem kui platseebo (näiv ravim) ühes põhiuuringus, milles osales 62 patsienti vanuses 6 kuud kuni 18 aastat. Efektiivsuse põhinäitaja oli nende patsientide arv, kelle sapphappete sisaldus veres oli pärast 24-nädalast ravi vähenenud vähemalt 70% võrra.

Patsiente, kellel saavutati vajalik vähenemine, oli Bylvay tavaannust (40 µg/kg ööpäevas) saanutest ligikaudu 44% (10 patsienti 23st), maksimaalset annust (120 µg/kg ööpäevas) saanutest ligikaudu

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



21% (4 patsienti 19st) ja platseebot saanutest 0% (0 patsienti 20st). Samuti tõendas uuring, et Bylvay leevendab selliseid sümptomeid nagu sügelus ja ennetab kasvupeetust.

Mis riskid Bylvayga kaasnevad?

Bylvay kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda kuni 1 patsiendil 10st) on pehme väljaheide, kõhulahtisus, kõhuvalu ja maksa suurenemine. Bylvay kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Bylvay ELis heaks kiideti?

Ühes põhiuuringus tõendati, et Bylvay on efektiivne sapphapete sisalduse vähendamisel progresseeruva perekondliku intrahepaatilise kolestaasiga patsientide veres. Bylvay vähendas efektiivselt ka progresseeruva perekondliku intrahepaatilise kolestaasi sümptomeid, näiteks sügelust. Et progresseeruv perekondlik intrahepaatiline kolestaas on väga haruldane haigus, oli uuring väike, kuid lühiajalised andmed näitasid, et Bylvay võib aeglustada haiguse süvenemist ning operatsiooni ja/või maksasiirdamise vajadust. Seni täheldatud kõrvalnähte peetakse hallatavaks. Arvestades haiguse raskust ja olemasolevate ravimeetodite puudumist, otsustas Euroopa Ravimiamet, et Bylvay kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Bylvay on saanud müügiloo erandlikel asjaoludel. See tähendab, et näidustuse väga harva esinemise tõttu ei olnud võimalik saada ravimi kohta täielikku teavet. Euroopa Ravimiamet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe ja vajaduse korral uuendab käesolevat ülevaadet.

Mis teavet Bylvay kohta veel oodatakse?

Et Bylvay on saanud müügiloo erandlikel asjaoludel, korraldab Bylvay turustaja uuringu, et saada andmeid Bylvay pikaajalise efektiivsuse kohta. Uuring keskendub ka sellele, kas Bylvay-ravi lükkab edasi maksaga seotud operatsiooni ja/või maksasiirdamist progresseeruva perekondliku intrahepaatilise kolestaasiga patsientidel.

Mis meetmed võetakse, et tagada Bylvay ohutu ja efektiivne kasutamine?

Bylvay ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, tehakse Bylvay kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Bylvay kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Bylvay kohta

Lisateave Bylvay kohta on ameti veebilehel:

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