



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Bylvay (*odeviksibaatti*)

Yleistiedot Bylvay-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Bylvay on ja mihin sitä käytetään?

Bylvay on lääke, jolla hoidetaan vähintään kuuden kuukauden ikäisiä potilaita, jotka sairastavat etenevää familiaalista maksansisäistä kolestaasia (PFIC). Se on harvinainen maksasairaus, jossa sappihappoja kertyy maksaan. Sappihapot ovat sappinesteen osa. Sappineste on maksan tuottamaa nestettä, joka auttaa rasvoja imeytymään suolistosta.

Bylvayn vaikuttava aine on odeviksibaatti.

Miten Bylvayta käytetään?

Bylvayta on saatavana kapseleina. Suositeltu annos on 40 mikrogrammaa painokiloa kohti. Kapselit otetaan kerran vuorokaudessa aamuisin. Ne voidaan ottaa kokonaisina tai ne voidaan avata ja sirotella ruokaan. Jos lääke ei vaikuta riittävän hyvin kolmen kuukauden hoidon jälkeen, hoitava lääkäri voi suurentaa annoksen 120 mikrogrammaan painokiloa kohti.

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta familiaalisen maksansisäisen kolestaasin hoitamisesta, ja hänen tulee myös valvoa hoitoa. Lisätietoja Bylvayn käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Bylvay vaikuttaa?

Bylvayn vaikuttava aine odeviksibaatti estää suolistossa olevan, sappihappoa suolistosta maksaan kuljettavan proteiinin (IBAT) toiminnan. Estämällä IBAT-proteiinin toimintaa odeviksibaatti vähentää suolistosta maksaan siirtyvän sappihapon määrää. Näin estetään sappihappojen kertyminen ja maksakudoksen vaurioituminen.

Mitä hyötyä Bylvaysta on havaittu tutkimuksissa?

Bylvay oli lumelääkettä tehokkaampi familiaalisen maksansisäisen kolestaasin vaikeusasteen vähentämisessä yhdessä päättökäytöksessä, johon osallistui 62 iältään 6 kuukauden ja 18 vuoden välillä olevaa potilasta. Tehon pääasiallinen mitta oli niiden potilaiden määrä, joiden veren sappihappopitoisuus pieneni vähintään 70 % 24 hoitoviikon jälkeen.



Bylvay-hoito aikaansai vaaditun sappihappopitoisuuden vähenemisen noin 44 prosentilla potilaista (10 potilasta 23:sta), jotka saivat vakioannoksen (40 mikrogrammaa painokiloa kohti vuorokaudessa), ja noin 21 prosentilla potilaista (4 potilasta 19:stä), jotka saivat enimmäisvuorokausiannoksen (120 mikrogrammaa painokiloa kohti vuorokaudessa). Lumelääkettä saaneiden vastaava osuus oli 0 prosenttia (0 potilasta 20:stä). Tutkimuksessa osoitettiin myös, että Bylvay voi parantaa oireita, kuten kutinaa, ja ehkäistä kasvun viivästyistä.

Mitä riskejä Bylvay-valmisteeseen liittyy?

Bylvayn yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat pehmeät ulosteet, ripuli, vatsakipu ja maksan laajentuminen. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Bylvayn ilmoitetuista haittavaikutuksista.

Miksi Bylvay on hyväksytty EU:ssa?

Yhdessä päätutkimuksessa osoitettiin, että Bylvay vähentää tehokkaasti sappihapon määrää familiaalista maksansisäistä kolestaasia sairastavien potilaiden veressä. Bylvay vähensi myös tehokkaasti kolestaasin merkkejä ja oireita, kuten kutinaa. Koska familiaalinen maksansisäinen kolestaasi on hyvin harvinainen sairaus, tutkimuksen otanta oli pieni, mutta saatavilla olevat lyhyen aikavälin tiedot osoittivat, että Bylvay voisi hidastaa sairauden etenemistä ja lykätä leikkauksen ja/tai maksansiirron tarvetta. Tähän mennessä havaittujen haittavaikutusten katsotaan olevan hallittavissa. Koska sairaus on vakava ja sille ei ole olemassa riittävästi muita hoitovaihtoehtoja, Euroopan lääkevirasto katsoi, että Bylvayn hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Bylvay on saanut myyntiluvan ns. poikkeusolosuhteissa. Tämä tarkoittaa sitä, että lääkevalmisteesta ei ole ollut mahdollista saada täydellistä tietoa, koska käyttöaihe on niin harvinainen. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä yhteenvetoa päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Bylvaysta odotetaan vielä saatavan?

Koska Bylvaylle on annettu myyntilupa poikkeusolosuhteissa, Bylvayta markkinoiva yhtiö tekee tutkimuksen, josta saadaan tietoa Bylvayn pitkäaikaisesta tehosta. Tutkimuksessa keskitytään myös siihen, viivyyttääkö Bylvay-hoito maksaan liittyvän leikkauksen ja/tai maksansiirron tarvetta familiaalista maksansisäistä kolestaasia sairastavilla potilailla.

Miten voidaan varmistaa Bylvayn turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Bylvayn käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Bylvayn käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Bylvaysta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Bylvaysta

Lisää tietoa Bylvaysta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa:

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