



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Bylvay (*odevixibat*)

Aperçu de Bylvay et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Bylvay et dans quel cas est-il utilisé?

Bylvay est un médicament utilisé dans le traitement des patients à partir de l'âge de six mois présentant une cholestase intrahépatique progressive familiale (PFIC, *progressive familial intrahepatic cholestasis*), un type rare de maladie du foie dans laquelle des acides biliaires s'accumulent dans le foie. Les acides biliaires sont un composant de la bile, un liquide produit dans le foie qui aide l'intestin à absorber les graisses.

Bylvay contient la substance active odevixibat.

Comment Bylvay est-il utilisé?

Bylvay est disponible sous la forme de gélules. La dose recommandée est de 40 microgrammes par kilogramme de poids corporel. Les gélules doivent être prises une fois par jour, le matin. Elles peuvent être prises entières ou ouvertes et saupoudrées sur les aliments. Si le médicament n'est pas assez efficace après trois mois, le médecin traitant peut augmenter la dose jusqu'à 120 microgrammes par kilogramme de poids corporel.

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et surveillé par un médecin expérimenté dans la prise en charge de la PFIC. Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Bylvay, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Bylvay agit-il?

La substance active de Bylvay, l'odevixibat, bloque l'action d'une protéine présente dans l'intestin (connue sous le nom d'IBAT) qui transporte les acides biliaires des intestins vers le foie. En bloquant l'action de l'IBAT, l'odevixibat réduit la quantité d'acides biliaires qui est transportée des intestins vers le foie. Cela évitera l'accumulation d'acides biliaires et des lésions du tissu hépatique.

Quels sont les bénéfices de Bylvay démontrés au cours des études?

Bylvay s'est avéré plus efficace qu'un placebo (traitement fictif) pour réduire la gravité de la PFIC dans le cadre d'une étude principale incluant 62 patients âgés de 6 mois à 18 ans. Le principal critère



d'évaluation de l'efficacité était basé sur le nombre de patients dont le taux d'acides biliaires dans le sang avait diminué d'au moins 70 % après 24 semaines de traitement.

Le traitement par Bylvay a conduit à la réduction requise chez environ 44 % (10 sur 23) des patients ayant reçu la dose standard (40 microgrammes par kilogramme de poids corporel par jour) et chez environ 21 % (4 sur 19) des patients ayant reçu la dose quotidienne maximale (120 microgrammes par kilogramme de poids corporel par jour), contre 0 % (0 sur 20) des patients sous placebo. L'étude a également montré que Bylvay peut améliorer des symptômes tels que les démangeaisons et prévenir un retard de croissance.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Bylvay?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Bylvay (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont les suivants: selles molles, diarrhée, douleurs abdominales et augmentation de la taille du foie. Pour une description complète des effets indésirables observés sous Bylvay, voir la notice.

Pourquoi Bylvay est-il autorisé dans l'UE?

Une étude principale a montré que Bylvay est efficace pour réduire la quantité d'acides biliaires dans le sang des patients atteints de PFIC. Bylvay s'est également avéré efficace pour réduire les signes et symptômes de la PFIC, tels que les démangeaisons. La PFIC étant une maladie très rare, l'étude était de faible envergure, mais les données à court terme disponibles indiquaient que Bylvay pouvait retarder la progression de la maladie et la nécessité d'une intervention chirurgicale et/ou d'une transplantation hépatique. Les effets indésirables observés à ce jour sont considérés comme gérables. Compte tenu de la gravité de la maladie et du manque de traitements existants, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Bylvay sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Bylvay. Cela signifie qu'en raison de la rareté de l'indication, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant le médicament. Chaque année, l'Agence européenne des médicaments examinera toute nouvelle information éventuellement disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent aperçu.

Quelles informations sont encore en attente au sujet de Bylvay?

Une autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles ayant été délivrée pour Bylvay, la société qui commercialise Bylvay réalisera une étude afin de fournir des données sur l'efficacité à long terme de Bylvay. L'étude visera également à déterminer si le traitement par Bylvay retarde la chirurgie hépatique et/ou la transplantation hépatique pour les patients atteints de PFIC.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Bylvay?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Bylvay ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Bylvay sont surveillées en permanence. Les effets indésirables rapportés avec Bylvay sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Bylvay:

Des informations sur Bylvay sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/bylvay