



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Bylvay (*odeviksibat*)

Pregled informacija o lijeku Bylvay i zašto je odobren u EU-u

Što je Bylvay i za što se koristi?

Bylvay je lijek za liječenje bolesnika u dobi od šest mjeseci i starijih s progresivnom obiteljskom intrahepatičnom kolestazom (PFIC), rijetkom vrstom bolesti jetre kod koje se u jetri nakupljaju žučne kiseline. Žučne kiseline sastavni su dio žuči, tekućine koja se proizvodi u jetri i koja pomaže u apsorpciji masti iz crijeva.

Bylvay sadrži djelatnu tvar odeviksibat.

Kako se Bylvay primjenjuje?

Lijek Bylvay dostupan je u obliku kapsula. Preporučena doza je 40 mikrograma po kilogramu tjelesne težine. Kapsule treba uzimati jednom dnevno, ujutro. Mogu se uzeti cijele ili se mogu otvoriti i posipati po hrani. Ako lijek ne djeluje dovoljno dobro nakon tri mjeseca, nadležni liječnik može povećati dozu na najviše 120 mikrograma po kilogramu tjelesne težine.

Lijek se izdaje samo na recept, a liječenje mora započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju PFIC-a. Za više informacija o primjeni lijeka Bylvay pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Bylvay?

Djelatna tvar lijeka Bylvay, odeviksibat, blokira djelovanje bjelančevine u crijevima (naziva IBAT) koja prenosi žučnu kiselinu iz crijeva u jetru. Blokirajući djelovanje IBAT-a, odeviksibat smanjuje količinu žučne kiseline koja se prenosi iz crijeva u jetru. Time se sprječava nakupljanje žučnih kiselina i oštećenje jetrenog tkiva.

Koje su koristi od lijeka Bylvay utvrđene u ispitivanjima?

Bylvay je bio učinkovitiji od placeba (liječenja bez djelatne tvari) u smanjenju težine PFIC-a u jednom glavnom ispitivanju kojim su bila obuhvaćena 62 bolesnika u dobi od 6 mjeseci do 18 godina. Glavno mjerilo učinkovitosti temeljilo se na broju bolesnika u kojih se razina žučne kiseline u krvi smanjila za najmanje 70 % nakon 24 tjedna liječenja.

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



Liječenje lijekom Bylvay dovelo je do potrebnog smanjenja u približno 44 % (10 od 23) bolesnika koji su primali standardnu dozu (40 mikrograma po kilogramu tjelesne težine na dan) i u približno 21 % (4 od 19) bolesnika koji su primali maksimalnu dnevnu dozu (120 mikrograma po kilogramu tjelesne težine na dan), u usporedbi s 0 % (0 od 20) bolesnika koji su primali placebo. Ispitivanje je pokazalo i da Bylvay može ublažiti simptome kao što je svrbež i spriječiti usporeni rast.

Koji su rizici povezani s lijekom Bylvay?

Najčešće nuspojave lijeka Bylvay (koje se mogu javiti u manje od 1 na 10 osoba) jesu meka stolica, proljev, bol u trbuhu i povećana jetra. Potpuni popis nuspojava povezanih s lijekom Bylvay potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Bylvay odobren u EU-u?

U jednom glavnom ispitivanju utvrđeno je da je lijek Bylvay učinkovit u smanjenju količine žučne kiseline u krvi bolesnika s PFIC-om. Bylvay je bio učinkovit i u ublažavanju znakova i simptoma PFIC-a kao što je svrbež. Budući da je PFIC vrlo rijetka bolest, ispitivanje je bilo malo, ali dostupni kratkoročni podatci upućuju na to da bi Bylvay mogao odgoditi napredovanje bolesti i potrebu za kirurškim zahvatom i/ili transplantacijom jetre. Smatra se da je moguće kontrolirati nuspojave koje su dosad uočene. S obzirom na ozbiljnost stanja i nedostatak postojećih terapija, Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Bylvay nadmašuju s njim povezan rizik te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Lijek Bylvay odobren je u „iznimnim okolnostima“. To znači da, budući da se indikacija rijetko pojavljuje, nije bilo moguće dobiti potpune informacije o lijeku. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove dostupne informacije te se ovaj sažetak po potrebi ažurira.

Koje se još informacije očekuju o lijeku Bylvay?

Budući da je lijek Bylvay odobren u iznimnim okolnostima, tvrtka koja stavlja lijek Bylvay u promet provest će ispitivanje kako bi dostavila podatke o dugoročnoj učinkovitosti lijeka Bylvay. Ispitivanje će biti usmjereno i na to odgađa li liječenje lijekom Bylvay kirurške zahvate povezane s jetrom i/ili transplantaciju jetre u bolesnika s PFIC-om.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Bylvay?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Bylvay nalaze se u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Bylvay kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Bylvay pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Bylvay

Više informacija o lijeku Bylvay dostupno je na internetskim stranicama Agencije:

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