



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Bylvay (*odevixibat*)

Sintesi di Bylvay e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Bylvay e per cosa si usa?

Bylvay è un medicinale indicato per il trattamento di pazienti a partire dai 6 mesi di età affetti da colestasi intraepatica familiare progressiva (PFIC), una rara malattia epatica in cui gli acidi biliari si accumulano nel fegato. Gli acidi biliari sono una componente della bile, un liquido prodotto nel fegato che aiuta ad assorbire i grassi dall'intestino.

Bylvay contiene il principio attivo odevixibat.

Come si usa Bylvay?

Bylvay è disponibile in capsule. La dose raccomandata è di 40 microgrammi per chilogrammo di peso corporeo. Le capsule devono essere assunte una volta al giorno al mattino. Possono essere assunte intere oppure aperte e cosparse sul cibo. Se il medicinale non è sufficientemente efficace dopo tre mesi, il medico curante può aumentare la dose fino a 120 microgrammi per chilogrammo di peso corporeo.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato e supervisionato da un medico esperto nella gestione della PFIC. Per maggiori informazioni sull'uso di Bylvay, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Bylvay?

Il principio attivo di Bylvay, odevixibat, blocca l'azione di una proteina presente nell'intestino (nota come IBAT) che trasporta l'acido biliare dall'intestino al fegato. Bloccando l'azione dell'IBAT, odevixibat riduce la quantità di acido biliare che viene trasportata dall'intestino al fegato. Ciò impedirà l'accumulo di acidi biliari e danni al tessuto epatico.

Quali benefici di Bylvay sono stati evidenziati negli studi?

Bylvay si è dimostrato più efficace del placebo (trattamento fittizio) nel ridurre la gravità della PFIC in uno studio principale condotto su 62 pazienti di età compresa tra 6 mesi e 18 anni. La principale misura dell'efficacia era basata sul numero di pazienti il cui livello di acidi biliari nel sangue era diminuito di almeno il 70 % dopo 24 settimane di trattamento.

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



Il trattamento con Bylvay ha determinato la necessaria riduzione nel 44 % circa (10 su 23) dei pazienti che avevano ricevuto la dose standard (40 microgrammi per chilogrammo di peso corporeo al giorno) e nel 21 % circa (4 su 19) dei pazienti che avevano ricevuto la dose massima giornaliera (120 microgrammi per chilogrammo di peso corporeo al giorno), rispetto allo 0 % (0 su 20) di coloro che avevano ricevuto il placebo. Lo studio ha anche mostrato che Bylvay può migliorare sintomi quali il prurito e prevenire ritardi nella crescita.

Quali sono i rischi associati a Bylvay?

Gli effetti indesiderati più comuni di Bylvay (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) sono feci molli, diarrea, dolore addominale e ingrossamento del fegato. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Bylvay, vedere il foglio illustrativo.

Perché Bylvay è autorizzato nell'UE?

Da uno studio principale è emerso che Bylvay è efficace nel ridurre la quantità di acido biliare nel sangue di pazienti affetti da PFIC. Bylvay è risultato efficace anche nel ridurre i segni e i sintomi della PFIC, come il prurito. Poiché la PFIC è una malattia molto rara, lo studio era di piccole dimensioni, ma dai dati a breve termine disponibili è risultato che Bylvay potrebbe ritardare la progressione della malattia e la necessità di intervento chirurgico e/o trapianto di fegato. Gli effetti indesiderati osservati finora sono considerati gestibili. Data la gravità della malattia e l'assenza di trattamenti, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Bylvay sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Bylvay è stato autorizzato in "circostanze eccezionali". Ciò significa che, essendo l'affezione molto rara, non è stato possibile ottenere informazioni complete sul medicinale. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni eventualmente disponibili e questa sintesi sarà aggiornata di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Bylvay?

Poiché Bylvay è stato autorizzato in circostanze eccezionali, la ditta che commercializza Bylvay condurrà uno studio per fornire dati sull'efficacia a lungo termine del medicinale. Lo studio valuterà inoltre attentamente se il trattamento con Bylvay possa ritardare interventi chirurgici a carico del fegato e/o il trapianto di fegato per i pazienti affetti da PFIC.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Bylvay?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Bylvay sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Bylvay sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Bylvay sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Bylvay

Ulteriori informazioni su Bylvay sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/bylvay