



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Bylvay (*odevixibat*)

Ħarsa ġenerali lejn Bylvay u r-raġuni għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Bylvay u għal xiex jintuża?

Bylvay huwa mediċina għat-trattament ta' pazjenti mill-età ta' 6 xhur b'kolestazi intraepatika familjali progressiva (PFIC), tip rari ta' marda tal-fwied li fiha jakkumulaw l-aċidi biljari fil-fwied. L-aċidi biljari huma komponent tal-bili, fluwidu prodott fil-fwied li jgħin sabiex jassorbi x-xaħam mill-musrana.

Bylvay fih is-sustanza attiva odevixibat.

Kif jintuża Bylvay?

Bylvay jiġi bħala kapsuli. Id-doża rakkomandata hija 40 mikrogramm għal kull kilogramm ta' piż tal-ġisem. Il-kapsuli għandhom jittiehdu darba kuljum filgħodu. Jistgħu jittiehdu shaħ jew jistgħu jinfethu u jitferrxu fuq l-ikel. Jekk il-mediċina ma tkunx qed taħdem tajjeb biżżejjed wara tliet xhur, it-tabib li jkun qed jikkura jista' jżid id-doża sa 120 mikrogramm għal kull kilogramm ta' piż tal-ġisem.

Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u l-kura għandha tinbeda u tiġi ssorveljata minn tabib li jkollu esperjenza fl-immaniġġjar tal-PFIC. Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Bylvay, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispjazzar tiegħek.

Kif jaħdem Bylvay?

Is-sustanza attiva f'Bylvay, l-odevixibat, timblokka l-azzjonijiet ta' proteina fl-intestini (magħrufa bħala IBAT) li ġgħorr l-aċidu biljari mill-intestini għall-fwied. Billi timblokka l-azzjonijiet ta' IBAT, l-odevixibat tnaqqas l-ammont ta' aċidu biljari li jiġi ttrasportat mill-intestini għall-fwied. Dan jipprevjeni l-akkumulazzjoni ta' aċidi biljari u ħsara lit-tessut tal-fwied.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Bylvay li ħarġu mill-istudji?

Bylvay kien aktar effettiv minn placebo (trattament finta) fit-tnaqqis tas-severità ta' PFIC fi studju ewlieni wieħed, li involva 62 pazjent li kellhom bejn 6 xhur u 18-il sena. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien ibbażat fuq in-numru ta' pazjenti li l-livell tal-aċidu biljari tagħhom fid-demm naqas b'tal-inqas 70 % wara 24 ġimgħa ta' kura.

It-trattament b'Bylvay wassal għat-tnaqqis meħtieġ f'madwar 44 % (10 minn 23) tal-pazjenti li rċevew id-doża standard (40 mikrogramm għal kull kilogramm ta' piż tal-ġisem kuljum) u f'madwar 21 % (4

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



minn 19) tal-pazjenti li rċevew id-doża massima ta' kuljum (120 mikrogramm għal kull kilogramm ta' piż tal-ġisem kuljum), meta mqabbla ma' 0 % (0 minn 20) ta' dawg li rċevew placebo. L-istudju wera wkoll li Bylvay jista' jtejjeb is-sintomi bħal ħakk u jipprevjeni tkabbir ittardjat.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Bylvay?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Bylvay (li jistgħu jaffettwaw sa persuna 1 minn kull 10) huma ippurgar artab, dijarea, uġiġħ fiż-żaqq, u fwied imkabbar. Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji ta' Bylvay, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex Bylvay ġie awtorizzat fl-UE?

Studju ewlieni wera li Bylvay huwa effettiv fit-tnaqqis tal-ammont ta' aċidu biljari fid-demm ta' pazjenti b'PFIC. Bylvay kien effettiv ukoll fit-tnaqqis ta' sinjali u sintomi ta' PFIC bħal ħakk. Minħabba li PFIC hija marda rari ħafna, l-istudju kien żgħir iżda d-*data* disponibbli fuq perjodu ta' żmien qasir indikat li Bylvay jista' jittardja l-progressjoni tal-marda u l-ħtieġa għal kirurġija u/jew trapjant tal-fwied. L-effetti sekondarji li dehru sal-lum huma kkunsidrati maniġġabbli. Minħabba s-serjetà tal-kundizzjoni u n-nuqqas ta' kuri eżistenti, l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddecidiet li l-benefiċċji ta' Bylvay huma akbar mir-riskji tiegħu u jista' jkun awtorizzat għall-użu fl-UE.

Bylvay ġie awtorizzat taħt "ċirkustanzi eċċezzjonali". Dan ifisser li, minħabba li l-indikazzjoni hija daqshekk rari, ma kienx possibbli li tinkiseb informazzjoni sħiħa dwar il-mediċina. Kull sena l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ser tirrieżamina kwalunkwe informazzjoni ġdida li tista' ssir disponibbli u dan is-sommarju jiġi aġġornat kif ikun meħtieġ.

Liema informazzjoni għadha mistennija għal Bylvay?

Peress li Bylvay ġie awtorizzat taħt ċirkustanzi eċċezzjonali, il-kumpanija li tqiegħed Bylvay fis-suq se twettaq studju biex tipprovdi *data* dwar l-effikaċja fit-tul ta' Bylvay. L-istudju se jiffoka wkoll fuq jekk it-trattament b'Bylvay itawwalx il-kirurġija relatata mal-fwied u/jew it-trapjant tal-fwied għal pazjenti b'PFIC.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Bylvay?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif, ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Bylvay.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Bylvay hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati b'Bylvay huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tiproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Bylvay

Aktar informazzjoni dwar Bylvay tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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