



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Bylvay (*odevixibat*)

Een overzicht van Bylvay en waarom het is geregistreerd in de EU

### Wat is Bylvay en wanneer wordt het voorgeschreven?

Bylvay is een geneesmiddel voor de behandeling van patiënten vanaf zes maanden oud met progressieve familiale intrahepatische cholestase (PFIC), een zeldzame leverziekte waarbij galzuren zich in de lever ophopen. Galzuren zijn bestanddelen van gal, een vloeistof die in de lever wordt aangemaakt en helpt bij het absorberen van vetten uit het darmkanaal.

Bylvay bevat de werkzame stof odevixibat.

### Hoe wordt Bylvay gebruikt?

Bylvay is verkrijgbaar in de vorm van capsules. De aanbevolen dosis is 40 microgram per kilogram lichaamsgewicht. De capsules moeten eenmaal daags in de ochtend worden ingenomen. Ze kunnen in hun geheel worden ingenomen of ze kunnen worden geopend om de inhoud over voedsel te strooien. Als het geneesmiddel na drie maanden niet goed genoeg werkt, kan de behandelend arts de dosis verhogen tot 120 microgram per kilogram lichaamsgewicht.

Het geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door en onder toezicht staan van een arts die ervaring heeft met de behandeling van PFIC. Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Bylvay.

### Hoe werkt Bylvay?

De werkzame stof in Bylvay, odevixibat, blokkeert de werking van een eiwit in de darmen (aangeduid als IBAT) dat galzuur van de darmen naar de lever vervoert. Door de werking van IBAT te blokkeren, vermindert odevixibat de hoeveelheid galzuur die vanuit de darmen naar de lever wordt getransporteerd. Dit voorkomt de ophoping van galzuren en beschadiging van het leverweefsel.

### Welke voordelen bleek Bylvay tijdens de studies te hebben?

Bylvay was werkzaamere dan een placebo (schijnbehandeling) bij het verminderen van de ernst van PFIC in één hoofdstudie onder 62 patiënten tussen zes maanden en 18 jaar oud. De voornaamste

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



graadmeter voor de werkzaamheid was gebaseerd op het aantal patiënten bij wie de concentratie galzuur in het bloed na 24 weken behandeling met ten minste 70 % was gedaald.

De behandeling met Bylvay leidde tot de vereiste verlaging bij ongeveer 44 % (10 van de 23) van de patiënten die de standaarddosis (40 microgram per kilogram lichaamsgewicht per dag) kregen toegediend en bij ongeveer 21 % (4 van de 19) van de patiënten die de maximale dagelijkse dosis (120 microgram per kilogram lichaamsgewicht per dag) kregen toegediend, tegenover 0 % (0 van de 20) van degenen die placebo kregen. Uit de studie bleek ook dat Bylvay symptomen zoals jeuk kan verlichten en vertraagde groei kan voorkomen.

## **Welke risico's houdt het gebruik van Bylvay in?**

De meest voorkomende bijwerkingen van Bylvay (die bij maximaal 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn zachte ontlasting, diarree, buikpijn en een vergrote lever. Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van Bylvay.

## **Waarom is Bylvay geregistreerd in de EU?**

Uit één hoofdstudie is gebleken dat Bylvay werkzaam is bij het verminderen van de hoeveelheid galzuur in het bloed van patiënten met PFIC. Bylvay was ook werkzaam bij het verminderen van tekenen en symptomen van PFIC, zoals jeuk. Omdat PFIC een zeer zeldzame ziekte is, was de studie klein, maar de beschikbare kortetermijngegevens wezen erop dat Bylvay de ziekteprogressie en de noodzaak van een operatie en/of levertransplantatie kan uitstellen. De tot dusver waargenomen bijwerkingen worden als beheersbaar beschouwd. Gezien de ernst van de aandoening en het gebrek aan bestaande behandelingen heeft het Europees Geneesmiddelenbureau geconcludeerd dat de voordelen van Bylvay groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Bylvay is goedgekeurd onder 'uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het niet mogelijk was volledige informatie over het geneesmiddel te verkrijgen omdat de indicatie zo weinig voorkomt. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventuele nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig bijwerken.

## **Welke informatie wordt nog verwacht voor Bylvay?**

Aangezien aan Bylvay registratie onder uitzonderlijke omstandigheden is verleend, zal het bedrijf dat Bylvay in de handel brengt een studie uitvoeren om gegevens te verstrekken over de werkzaamheid van Bylvay op lange termijn. De studie zal ook gericht zijn op de vraag of behandeling met Bylvay de noodzaak van een levergerelateerde operatie en/of levertransplantatie uitstelt voor PFIC-patiënten.

## **Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Bylvay te waarborgen?**

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Bylvay, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Bylvay continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Bylvay worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

## Overige informatie over Bylvay

Meer informatie over Bylvay is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/bylvay](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/bylvay)