



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Bylvay (odewiksybat)

Przegląd wiedzy na temat leku Bylvay i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Bylvay i w jakim celu się go stosuje

Bylvay jest lekiem stosowanym w leczeniu pacjentów w wieku od 6 miesięcy z postępującą rodzinną cholestazą wewnątrzwątrobową (ang. progressive familial intrahepatic cholestasis, PFIC), rzadką chorobą wątroby, w przebiegu której dochodzi do gromadzenia się kwasów żółciowych w wątrobie. Kwasy żółciowe są składnikiem żółci – płynu wytwarzanego w wątrobie, który pomaga we wchłanianiu tłuszczów z jelit.

Substancją czynną zawartą w leku Bylvay jest odewiksybat.

Jak stosować lek Bylvay

Lek Bylvay jest dostępny w postaci kapsułek. Zalecana dawka wynosi 40 mikrogramów na kilogram masy ciała. Kapsułki należy przyjmować raz na dobę rano. Można je przyjmować w całości lub otworzyć i wsypać ich zawartość do jedzenia. Jeżeli po trzech miesiącach działanie leku okaże się niewystarczające, lekarz prowadzący może zwiększyć dawkę do 120 mikrogramów na kilogram masy ciała.

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz z doświadczeniem w leczeniu PFIC. Więcej informacji o sposobie stosowania leku Bylvay znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Bylvay

Substancja czynna leku Bylvay, odewiksybat, blokuje działanie białka w jelicie (zwanego IBAT), które transportuje kwas żółciowy z jelit do wątroby. Blokując działanie IBAT, odewiksybat zmniejsza ilość kwasu żółciowego transportowanego z jelit do wątroby. Zapobiega to gromadzeniu się kwasów żółciowych i uszkodzeniu tkanki wątroby.

Korzyści ze stosowania leku Bylvay wykazane w badaniach

W jednym badaniu głównym z udziałem 62 pacjentów w wieku od 6 miesięcy do 18 lat lek Bylvay był skuteczniejszy niż placebo (leczenie pozorowane) pod względem zmniejszania nasilenia PFIC. Głównym

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



kryterium oceny skuteczności była liczba pacjentów, u których stężenie kwasów żółciowych we krwi zmniejszyło się o co najmniej 70% po 24 tygodniach leczenia.

Stosowanie leku Bylvay doprowadziło do wymaganego zmniejszenia o około 44% (10 z 23) pacjentów, którzy otrzymywali standardową dawkę (40 mikrogramów na kilogram masy ciała na dobę) i o około 21% (4 z 19) pacjentów, którzy otrzymywali maksymalną dawkę dobową (120 mikrogramów na kilogram masy ciała na dobę), w porównaniu z 0% (0 z 20) pacjentów otrzymujących placebo. W badaniu wykazano również, że lek Bylvay może łagodzić objawy takie jak świąd i zapobiegać opóźnionemu wzrostowi.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Bylvay

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Bylvay (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to: luźne stolce, biegunka, ból brzucha i powiększenie wątroby. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Bylvay znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Bylvay w UE

W jednym badaniu głównym wykazano, że lek Bylvay jest skuteczny w zmniejszaniu ilości kwasu żółciowego we krwi pacjentów z PFIC. Lek Bylvay był również skuteczny w zmniejszaniu objawów przedmiotowych i podmiotowych PFIC, takich jak świąd. Ze względu na to, że PFIC jest bardzo rzadką chorobą, badanie zakrojone było na niewielką skalę, ale z dostępnych danych krótkoterminowych wynika, że lek Bylvay może opóźniać postęp choroby i konieczność wykonania zabiegu chirurgicznego lub przeszczepienia wątroby. Obserwowane do tej pory działania niepożądane uznaje się za możliwe do kontrolowania. Ze względu na powagę choroby i brak istniejących metod leczenia Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Bylvay przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Bylvay dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Oznacza to, że ponieważ wskazania występują tak rzadko, nie można było uzyskać pełnych informacji o leku. Co roku Europejska Agencja Leków dokonuje przeglądu wszelkich nowych informacji na temat leku i w razie potrzeby uaktualnia niniejsze streszczenie.

Jakich informacji jeszcze brakuje na temat leku Bylvay

W związku z tym, że lek Bylvay uzyskał dopuszczenie do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, firma wprowadzająca lek do obrotu przeprowadzi badanie w celu przedstawienia danych na temat długoterminowej skuteczności leku Bylvay. W badaniu nacisk zostanie również położony na to, czy stosowanie leku Bylvay opóźnia konieczność wykonania zabiegu chirurgicznego lub przeszczepu wątroby u pacjentów z PFIC.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Bylvay

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Bylvay w Charakterystyce Produktu Leczniczego i Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Bylvay są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Bylvay są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Bylvay

Dalsze informacje na temat leku Bylvay znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/bylvay