



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Bylvay (*odevixibat*)

Prezentare generală a Bylvay și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Bylvay și pentru ce se utilizează?

Bylvay este un medicament pentru tratarea pacienților cu vârsta de cel puțin 6 luni cu coleastăză familială intrahepatică progresivă (CFIP), un tip rar de boală hepatică în care acizii biliari se acumulează în ficat. Acizii biliari sunt o componentă a bilei, un lichid produs în ficat care ajută la absorbția grăsimilor din intestin.

Bylvay conține substanța activă odevixibat.

Cum se utilizează Bylvay?

Bylvay este disponibil sub formă de capsule. Doza recomandată este de 40 micrograme pe kilogram de greutate corporală. Capsulele trebuie luate o dată pe zi, dimineața. Pot fi luate întregi sau pot fi deschise și presărate pe alimente. Dacă medicamentul nu dă rezultate suficient de bune după trei luni, medicul curant poate mări doza până la 120 micrograme pe kilogram de greutate corporală.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în gestionarea terapeutică a CFIP. Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Bylvay, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Bylvay?

Substanța activă din Bylvay, odevixibatul, blochează acțiunea unei proteine din intestin (numită IBAT) care transportă acidul biliar din intestine în ficat. Prin blocarea acțiunii IBAT, odevixibatul reduce cantitatea de acid biliar transportată din intestine în ficat. Acest lucru va preveni acumularea de acizi biliari și afectarea țesutului hepatic.

Ce beneficii a prezentat Bylvay pe parcursul studiilor?

Într-un studiu principal, la care au participat 62 de pacienți cu vârste cuprinse între 6 luni și 18 ani, Bylvay a fost mai eficace decât placebo (un preparat inactiv) în ceea ce privește reducerea severității CFIP. Principala măsură a eficacității s-a bazat pe numărul de pacienți la care concentrația de acid biliar din sânge a scăzut cu cel puțin 70 % după 24 de săptămâni de tratament.

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



Tratamentul cu Bylvay a dus la reducerea necesară a concentrației la aproximativ 44 % (10 din 23) din pacienții care au primit doza standard (40 micrograme pe kilogram de greutate corporală pe zi) și la aproximativ 21 % (4 din 19) din pacienții care au primit doza zilnică maximă (120 micrograme pe kilogram de greutate corporală pe zi), comparativ cu 0 % (0 din 20) din cei care au primit placebo. Studiul a arătat, de asemenea, că Bylvay poate ameliora simptomele, cum ar fi mâncărimea, și poate preveni **întârzierea dezvoltării**.

Care sunt riscurile asociate cu Bylvay?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Bylvay (care pot afecta cel mult 1 persoană din 10) sunt scaune moi, diaree, dureri de burtă și ficat mărit. Pentru lista completă a reacțiilor adverse raportate asociate cu Bylvay, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Bylvay în UE?

Un studiu principal a arătat că Bylvay este eficace în reducerea cantității de acid biliar din sângele pacienților cu CFIP. Bylvay a fost eficace și în reducerea semnelor și simptomelor de CFIP, cum ar fi mâncărimea. Deoarece CFIP este o boală foarte rară, studiul a fost mic, dar datele disponibile pe termen scurt au indicat că Bylvay ar putea întârzia progresia bolii și necesitatea unei intervenții chirurgicale și/sau a unui transplant de ficat. Reacțiile adverse observate până în prezent sunt considerate gestionabile terapeutic. Date fiind gravitatea afecțiunii și lipsa de tratamente existente, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Bylvay sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Bylvay a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauză că indicația este întâlnită atât de rar, nu s-au putut obține informații complete despre medicament. În fiecare an, Agenția Europeană pentru Medicamente va examina orice informație nou apărută, iar prezentul rezumat va fi actualizat, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Bylvay?

Având în vedere că Bylvay a fost autorizat în condiții excepționale, compania care comercializează Bylvay va efectua un studiu pentru a furniza date privind eficacitatea pe termen lung a Bylvay. Studiul va urmări, de asemenea, dacă tratamentul cu Bylvay întârzie intervențiile chirurgicale la ficat și/sau transplantul de ficat la pacienții cu CFIP.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Bylvay?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Bylvay, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Bylvay sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Bylvay sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Bylvay

Informații suplimentare cu privire la Bylvay sunt disponibile pe site-ul agenției:

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