



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Bylvay (*odevixibat*)

Prehľad o lieku Bylvay a prečo bol povolený v EÚ?

### Čo je liek Bylvay a na čo sa používa?

Bylvay je liek na liečbu pacientov vo veku od 6 mesiacov s progresívnou familiárnou intrahepatálnou cholestázou (PFIC), zriedkavým typom ochorenia pečene, pri ktorom sa v pečeni hromadia žľčové kyseliny. Žľčové kyseliny sú zložkou žlče, tekutiny vytváratej v pečeni, ktorá pomáha absorbovať tuky z čreva.

Liek Bylvay obsahuje liečivo odevixibat.

### Ako sa liek Bylvay užíva?

Liek Bylvay je dostupný vo forme kapsúl. Odporúčaná dávka je 40 mikrogramov na kilogram telesnej hmotnosti. Kapsuly sa majú užívať jedenkrát denne ráno. Môžu sa užívať celé alebo sa môžu otvoriť a posypať na jedlo. Ak liek po troch mesiacoch neúčinkuje dostatočne dobre, ošetrojúci lekár môže zvýšiť dávku až na 120 mikrogramov na kilogram telesnej hmotnosti.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou PFIC. Viac informácií o užívaní lieku Bylvay si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

### Akým spôsobom liek Bylvay účinkuje?

Liečivo lieku Bylvay, odevixibat, blokuje pôsobenie proteínu v čreve (známeho ako IBAT), ktorý prenáša žľčovú kyselinu z čriev do pečene. Zablokovaním účinku IBAT odevixibat znižuje množstvo žľčovej kyseliny, ktorá sa prenáša z čriev do pečene. Tým sa zabráni hromadeniu žľčových kyselín a poškodeniu tkaniva pečene.

### Aké prínosy lieku Bylvay boli preukázané v štúdiách?

Liek Bylvay bol pri znižovaní závažnosti PFIC účinnejší ako placebo (zdanlivý liek) v jednej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 62 pacientov vo veku od 6 mesiacov do 18 rokov. Hlavným meradlom účinnosti bol počet pacientov, u ktorých sa hladina žľčových kyselín v krvi po 24 týždňoch liečby znížila aspoň o 70 %.

---

**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



© European Medicines Agency, 2021. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Liečba liekom Bylvay viedla k požadovanému zníženiu u približne 44 % (10 z 23) pacientov, ktorí dostávali štandardnú dávku (40 mikrogramov na kilogram telesnej hmotnosti denne), a u približne 21 % (4 z 19) pacientov, ktorí dostávali maximálnu dennú dávku (120 mikrogramov na kilogram telesnej hmotnosti denne), v porovnaní s 0 % (0 z 20) pacientov, ktorí dostávali placebo. V štúdii sa tiež preukázalo, že liek Bylvay môže zlepšiť príznaky, ako je svrbenie, a zabrániť oneskorenému rastu.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Bylvay?**

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Bylvay (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú mäkká stolica, hnačka, bolesť brucha a zväčšená pečeň. Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Bylvay sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

## **Prečo bol liek Bylvay povolený v EÚ?**

V jednej hlavnej štúdii sa preukázalo, že liek Bylvay je účinný pri znižovaní množstva žlčových kyselín v krvi pacientov s PFIC. Liek Bylvay bol účinný aj pri znižovaní príznakov a symptómov PFIC, ako je svrbenie. Keďže PFIC je veľmi zriedkavé ochorenie, štúdia bola malá, ale z dostupných krátkodobých údajov vyplýva, že liek Bylvay by mohol oddialiť progresiu ochorenia a potrebu chirurgického zákroku a/alebo transplantácie pečene. Doteraz pozorované vedľajšie účinky sa považujú za zvládnuteľné. Vzhľadom na závažnosť tohto ochorenia a nedostatok existujúcich terapií Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Bylvay sú väčšie ako jeho riziká a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Liek Bylvay je povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tejto indikácie nebolo možné získať všetky informácie o lieku. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

## **Aké informácie o lieku Bylvay dosiaľ neboli predložené?**

Keďže liek Bylvay bol povolený za mimoriadnych okolností, spoločnosť, ktorá liek Bylvay uvádza na trh, uskutoční štúdiu s cieľom poskytnúť údaje o dlhodobej účinnosti lieku Bylvay. Štúdia bude zameraná aj na to, či liečba liekom Bylvay odďaľuje operáciu súvisiacu s pečeňou a/alebo transplantáciu pečene u pacientov s PFIC.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Bylvay?**

Na bezpečné a účinné užívanie lieku Bylvay boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o užívaní lieku Bylvay sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Bylvay sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie informácie o lieku Bylvay**

Ďalšie informácie o lieku Bylvay sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/bylvay](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/bylvay)