



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Bylvay (*odeviksibat*)

Pregled zdravila Bylvay in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Bylvay in za kaj se uporablja?

Bylvay je zdravilo za zdravljenje bolnikov, starejših od 6 mesecev, s progresivno družinsko intrahepatično holestazo (PFIC), redko vrsto obolenja jeter, pri kateri se žolčne kisline kopičijo v jetrih. Žolčne kisline so sestavina žolča, tekočine, ki se tvori v jetrih in pomaga pri absorpciji maščob iz črevesja.

Zdravilo Bylvay vsebuje učinkovino odeviksibat.

Kako se zdravilo Bylvay uporablja?

Zdravilo Bylvay je na voljo v obliki kapsul. Priporočeni odmerek je 40 mikrogramov na kilogram telesne mase. Kapsule je treba jemati enkrat na dan zjutraj. Lahko jih pogoltnete cele ali jih odprete in vsebino posujete po hrani. Če zdravilo po treh mesecih ne deluje dovolj dobro, lahko lečeči zdravnik poveča odmerek na največ 120 mikrogramov na kilogram telesne mase.

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem progresivne družinske intrahepatične holestaze. Za več informacij glede uporabe zdravila Bylvay glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Bylvay deluje?

Učinkovina v zdravilu Bylvay, odeviksibat, zavira delovanje beljakovine v črevesju (imenovane IBAT), ki prenaša žolčno kislino iz črevesja v jetra. Odeviksibat z zaviranjem delovanja beljakovine IBAT zmanjša količino žolčne kisline, ki se prenaša iz črevesja v jetra. To prepreči kopičenje žolčnih kislin in poškodbo jetrnega tkiva.

Kakšne koristi zdravila Bylvay so se pokazale v študijah?

Zdravilo Bylvay je bilo pri zmanjševanju resnosti progresivne družinske intrahepatične holestaze učinkovitejše od placeba (zdravila brez učinkovine) v eni glavni študiji, v katero je bilo vključenih 62 bolnikov, starih od šest mesecev do 18 let. Glavno merilo učinkovitosti je temeljilo na številu

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



bolnikov, pri katerih se je koncentracija žolčne kisline v krvi po 24 tednih zdravljenja zmanjšala za vsaj 70 %.

Pri zdravljenju z zdravilom Bylvay je bilo zahtevano zmanjšanje doseženo pri približno 44 % (10 od 23) bolnikov, ki so prejeli standardni odmerek (40 mikrogramov na kilogram telesne mase na dan), in približno 21 % (4 od 19) bolnikov, ki so prejeli največji dnevni odmerek (120 mikrogramov na kilogram telesne mase na dan), v primerjavi z 0 % (0 od 20) bolnikov, ki so prejeli placebo. Študija je pokazala tudi, da lahko zdravilo Bylvay izboljša simptome, kot je srbenje, in prepreči zaostajanje v rasti.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Bylvay?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Bylvay (ki se lahko pojavijo pri največ 1 od 10 bolnikov) so mehko blato, driska, bolečine v trebuhu in povečana jetra. Za celoten seznam neželenih učinkov zdravila Bylvay glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Bylvay odobreno v EU?

Ena glavna študija je pokazala, da je zdravilo Bylvay učinkovito pri zmanjševanju količine žolčne kisline v krvi bolnikov s progresivno družinsko intrahepatično holestazo. Zdravilo Bylvay je bilo učinkovito tudi pri zmanjševanju znakov in simptomov progresivne družinske intrahepatične holestaze, kot je srbenje. Ker je progresivna družinska intrahepatična holestaza zelo redka bolezen, je bila študija majhna, razpoložljivi kratkoročni podatki pa kažejo, da lahko zdravilo Bylvay upočasni napredovanje bolezni ter potrebo po kirurškem posegu in/ali presaditvi jeter. Doslej opaženi neželeni učinki se štejejo za obvladljive. Evropska agencija za zdravila je glede na resnost bolezni in pomanjkanje obstoječih zdravljenj zaključila, da so koristi zdravila Bylvay večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Bylvay je pridobilo dovoljenje za promet v „izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh podatkov o zdravilu. Evropska agencija za zdravila bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo. Če bo potrebno, bo posodobljen tudi ta povzetek.

Katere informacije o zdravilu Bylvay še pričakujemo?

Ker je zdravilo Bylvay pridobilo dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah, bo podjetje, ki ga trži, izvedlo študijo za pridobitev podatkov o dolgoročni učinkovitosti zdravila Bylvay. Študija se bo osredotočila tudi na to, ali zdravljenje z zdravilom Bylvay pri bolnikih s progresivno družinsko intrahepatično holestazo odloži operacijo, povezano z jetri, in/ali presaditev jeter.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Bylvay?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Bylvay upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Bylvay stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Bylvay, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Bylvay

Nadaljnje informacije za zdravilo Bylvay so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/bylvay