



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Bylvay (*odevixibat*)

Sammanfattning av Bylvay och varför det är godkänt inom EU

Vad är Bylvay och vad används det för?

Bylvay är ett läkemedel för behandling av patienter från 6 månaders ålder med progressiv familjär intrahepatisk kolestas (PFIC), en sällsynt typ av leversjukdom där gallsyror ansamlas i levern. Gallsyror är en beståndsdel i gallan, en vätska som framställs i levern och som hjälper till att absorbera fett från tarmen.

Bylvay innehåller den aktiva substansen odevixibat.

Hur används Bylvay?

Bylvay finns som kapslar. Den rekommenderade dosen är 40 mikrogram per kilo kroppsvikt. Kapslarna ska tas en gång om dagen på morgonen. De kan tas hela eller öppnas och strös på maten. Om läkemedlet inte fungerar tillräckligt väl efter tre månader kan den behandlande läkaren öka dosen upp till 120 mikrogram per kilo kroppsvikt.

Läkemedlet är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla PFIC. För mer information om hur du använder Bylvay, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Bylvay?

Den aktiva substansen i Bylvay, odevixibat, blockerar verkan av ett protein i tarmarna (som kallas IBAT) som transporterar gallsyra från tarmarna till levern. Genom att blockera verkan av IBAT minskar odevixibat mängden gallsyra som transporteras från tarmarna till levern. Detta förhindrar ansamlingen av gallsyror som skadar levervävnaden.

Vilken nytta med Bylvay har visats i studierna?

Bylvay var effektivare än placebo (overksam behandling) när det gällde att minska svårighetsgraden av PFIC i en huvudstudie som omfattade 62 patienter i åldern 6 månader till 18 år. Huvudeffektmåttet baserades på antalet patienter vars halt av gallsyra i blodet minskade med minst 70 procent efter 24 veckors behandling.

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



Behandling med Bylvay ledde till den nödvändiga minskningen hos omkring 44 procent (10 av 23) av patienterna som fick standarddosen (40 mikrogram per kilo kroppsvikt per dag) och hos omkring 21 procent (4 av 19) av patienterna som fick den högsta dagliga dosen (120 mikrogram per kilo kroppsvikt per dag), jämfört med 0 procent (0 av 20) av dem som fick placebo. Studien visade också att Bylvay kan förbättra symtom som klåda och förhindra fördröjd tillväxt.

Vilka är riskerna med Bylvay?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Bylvay (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är mjuk avföring, diarré, magont och förstörd lever. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Bylvay finns i bipacksedeln.

Varför är Bylvay godkänt i EU?

En huvudstudie har visat att Bylvay är effektivt för att minska mängden gallsyra i blodet hos patienter med PFIC. Bylvay var också effektivt för att minska tecken och symtom på PFIC, t.ex. klåda. Eftersom PFIC är en mycket sällsynt sjukdom var studien liten, men de tillgängliga korttidsuppgifterna visade att Bylvay kan fördröja sjukdomsprogression och behovet av operation och/eller levertransplantation. De biverkningar som hittills setts anses vara hanterbara. Med tanke på hur allvarlig sjukdomen är och bristen på befintliga behandlingar fann Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) att fördelarna med Bylvay är större än riskerna och att Bylvay kan godkännas för försäljning i EU.

Bylvay har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om läkemedlet eftersom indikationen förekommer så sällan. Europeiska läkemedelsmyndigheten kommer att granska ny information om produkten varje år och uppdatera denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Bylvay saknas för närvarande?

Eftersom Bylvay har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall" ska företaget som marknadsför Bylvay genomföra en studie för att tillhandahålla data om Bylvays långsiktiga effekt. Studien kommer också att inriktas på huruvida behandling med Bylvay fördröjer leverrelaterad kirurgi och/eller levertransplantation för PFIC-patienter.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Bylvay?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Bylvay har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Bylvay kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Bylvay utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Bylvay

Mer information om Bylvay finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/bylvay