



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Bylvay (*odevixibat*)

Información general sobre Bylvay y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Bylvay y para qué se utiliza?

Bylvay es un medicamento que se utiliza para tratar a pacientes a partir de los 6 meses de edad con colestasis intrahepática familiar progresiva (CIFP), un tipo raro de enfermedad hepática en la que se acumulan ácidos biliares en el hígado. Los ácidos biliares son un componente de la bilis, un líquido que produce el hígado y que ayuda a absorber las grasas del intestino.

Bylvay contiene el principio activo odevixibat.

¿Cómo se usa Bylvay?

Bylvay se presenta en forma de cápsulas. La dosis recomendada es de 40 microgramos por kilogramo de peso corporal. Las cápsulas deben tomarse una vez al día por la mañana. Se pueden tragar enteras o se pueden abrir y espolvorear sobre los alimentos. Si no se consigue un efecto suficiente con este medicamento al cabo de tres meses, el médico responsable del tratamiento puede aumentar la dosis hasta 120 microgramos por kilogramo de peso corporal.

El medicamento solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe iniciarlo y supervisarlo un médico con experiencia en el tratamiento de la CIFP. Para mayor información sobre el uso de Bylvay, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Bylvay?

El principio activo de Bylvay, el odevixibat, bloquea la acción de una proteína presente en el intestino (conocida como IBAT) que transporta los ácidos biliares de los intestinos al hígado. Al bloquear las acciones de la proteína IBAT, el odevixibat reduce la cantidad de ácidos biliares que se transporta del intestino al hígado. Esto evitará la acumulación de ácidos biliares y de lesiones en el tejido hepático.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Bylvay en los estudios realizados?

Bylvay fue más eficaz que el placebo (un tratamiento ficticio) para reducir la gravedad de la CIFP en un estudio principal en el que participaron 62 pacientes de edades comprendidas entre 6 meses y 18 años. El principal criterio de valoración de la eficacia se basó en el número de pacientes cuya

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



concentración de ácidos biliares en sangre disminuyó al menos un 70 % al cabo de 24 semanas de tratamiento.

El tratamiento con Bylvay logró la reducción necesaria en alrededor del 44 % (10 de 23) de los pacientes que recibieron la dosis estándar (40 microgramos por kilogramo de peso corporal al día) y en alrededor del 21 % (4 de 19) de los pacientes que recibieron la dosis máxima diaria (120 microgramos por kilogramo de peso corporal al día), en comparación con el 0 % (0 de 20) de los que recibieron el placebo. El estudio también demostró que Bylvay puede mejorar síntomas como el picor y evitar el retraso del crecimiento.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Bylvay?

Los efectos adversos más frecuentes de Bylvay (pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) son heces blandas, diarrea, dolor abdominal y aumento del tamaño del hígado. La lista completa de efectos adversos notificados de Bylvay se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Bylvay en la UE?

Un estudio principal ha demostrado que Bylvay es eficaz para reducir la cantidad de ácidos biliares en sangre de los pacientes con CIFP. Bylvay también logró reducir los signos y síntomas de la CIFP, como el picor. Dado que la CIFP es una enfermedad muy rara, el estudio fue reducido, pero los datos disponibles a corto plazo indicaron que Bylvay podría retrasar la progresión de la enfermedad y la necesidad de cirugía y/o trasplante de hígado. Los efectos adversos observados hasta la fecha se consideran controlables. Dada la gravedad de la enfermedad y la ausencia de tratamientos alternativos, la Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Bylvay son mayores que los riesgos y se recomienda autorizar su uso en la UE.

Bylvay se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto significa que, dado que la indicación es tan rara, no ha sido posible obtener información completa sobre el medicamento. Cada año, la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará toda la información nueva de que se disponga y el presente resumen se actualizará cuando sea necesario.

¿Qué información falta todavía sobre Bylvay?

Dado que Bylvay ha sido autorizado en circunstancias excepcionales, la compañía que lo comercializa llevará a cabo un estudio para obtener datos sobre su eficacia a largo plazo. El estudio también se centrará en si el tratamiento con Bylvay retrasa la cirugía relacionada con el hígado o el trasplante de hígado en pacientes con CIFP.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Bylvay?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Bylvay se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Bylvay se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados con Bylvay se evalúan cuidadosamente y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otras información sobre Bylvay

Puede encontrar información adicional sobre Bylvay en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/bylvay