

Rapport succinct d'autorisation du 23.03.2026

Bylvay® (principe actif : odévixibat)

Autorisation en Suisse : 04.12.2025

Gélules par voie orale destinées au traitement du prurit (démangeaisons) cholestatique chez les patientes et les patients de 6 mois et plus présentant une cholestase intrahépatique progressive familiale (*progressive familial intrahepatic cholestasis*, PFIC) ou chez les patientes et les patients de 12 mois et plus atteints d'un syndrome d'Alagille (*Alagille Syndrome*, ALGS)

À propos du médicament

Bylvay® contient le principe actif odévixibat.

Le médicament Bylvay est indiqué dans le traitement de fortes démangeaisons dues à une accumulation d'acides biliaires chez les patientes et les patients de 6 mois et plus atteints de PFIC ou de 12 mois et plus souffrant d'ALGS.

La PFIC et l'ALGS sont des maladies héréditaires rares qui peuvent engendrer une altération du débit biliaire, ce qui entraîne une accumulation d'acides biliaires. Il en résulte une augmentation de la concentration d'acides biliaires et d'autres composantes de

la bile dans le sang. Les patientes et patients concernés souffrent donc souvent de fortes démangeaisons.

Le médicament Bylvay aide à réduire l'accumulation d'acides biliaires dans l'organisme, atténuant ainsi les démangeaisons.

La PFIC et l'ALGS étant des maladies rares mettant en jeu le pronostic vital, le médicament Bylvay a été autorisé en tant que médicament orphelin (*orphan drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

Action

Le principe actif odévixibat du médicament Bylvay bloque le transporteur spécifique des acides biliaires dans l'intestin. La réabsorption des acides biliaires dans l'organisme s'en

trouve ainsi diminuée, ce qui réduit leur accumulation dans le sang. Ce mécanisme d'action permet de soulager les démangeaisons.

Administration

Le médicament Bylvay est soumis à ordonnance. Il est disponible sous forme de gélules à prendre par voie orale dans les dosages d'odévixibat de 200 µg, 400 µg, 600 µg et 1200 µg par gélule.

La dose journalière initiale usuelle en cas de PFIC est de 40 µg/kg de poids corporel et de 120 µg/kg de poids corporel en cas d'ALGS.

Les gélules doivent être prises le matin, avec ou sans aliments. Elles peuvent être avalées entières ou ouvertes et saupoudrées sur des aliments mous ou ajoutées à un liquide adapté à l'âge de la patiente ou du patient.

En cas de préparation avec un liquide, il faut utiliser une seringue pour administration orale.

Efficacité

L'efficacité de la préparation Bylvay a été étudiée chez des patientes et des patients atteints de PFIC et d'ALGS souffrant de prurit cholestatique sévère.

Lors d'un essai de 24 semaines (A4250-005) mené sur 62 enfants et adolescents atteints de PFIC, le traitement par Bylvay a permis une réduction significative des démangeaisons par rapport au traitement par placebo (médicament factice).

Une réponse cliniquement significative (score de prurit ≤ 1 ou amélioration ≥ 1 point¹) a été obtenue chez 58,3 % des patientes et des patients ayant reçu 40 µg/kg de Bylvay, et chez 47,7 % de ceux qui ont été traités par une dose de 120 µg/kg de Bylvay, contre 28,7 % des sujets sous placebo.

Une réduction des taux sériques d'acides biliaires ≥ 70 % ou un taux d'acides biliaires ≤ 70 µmol/l² ont été atteints chez 43,5 % des patientes et des patients ayant reçu la dose de 40 µg/kg et chez 21,1 % de ceux sous traitement par une dose de 120 µg/kg, alors qu'aucun sujet n'a rempli ce critère d'évaluation dans le groupe sous placebo.

Lors d'un traitement de longue durée sur une période allant jusqu'à 96 semaines, les améliorations du prurit et des taux sériques d'acides biliaires sont restées stables chez les sujets atteints de PFIC. Aucun effet modificateur de la maladie (comme le retardement des complications hépatiques graves) n'a cependant pu être établi. L'autorisation est donc limitée au traitement du prurit cholestatique³.

Dans une étude de 24 semaines (A4250-012) menée sur 52 patientes et patients atteints d'ALGS, la préparation Bylvay a également montré une atténuation significative des démangeaisons.

Les taux sériques d'acides biliaires ont là aussi considérablement baissé.

Les effets du traitement sont restés stables chez les sujets souffrant d'ALGS au cours d'un traitement à long terme sur une période allant jusqu'à 96 semaines. Par contre, aucun bénéfice sur l'évolution de la pathologie hépatique n'a pu être montré.

¹ Le score de prurit est un instrument standardisé – ici par une échelle de notation numérique – qui objectivise le ressenti subjectif des démangeaisons sur une échelle de 0 (aucune démangeaison) à 4 (pire démangeaison imaginable) avant et après le traitement.

² Taux normal : 0 – 10 µmol/l

³ Démangeaisons engendrées par une perturbation du débit biliaire dans le foie ou les voies biliaires et donc par des quantités élevées d'acides biliaires dans le sang.

Précautions, effets indésirables et risques

Bylvay ne doit pas être utilisé en cas d'hyper-sensibilité au principe actif ou à l'un des excipients.

Les effets indésirables les plus fréquents étaient les suivants : diarrhée, douleurs abdominales et vomissements.

Des augmentations des paramètres hépatiques (p. ex. ALAT, ASAT, bilirubine) et des

diminutions des taux de vitamines liposolubles (vitamines D et E) ont été rapportées.

Toutes les précautions applicables ainsi que les risques et les autres effets indésirables possibles sont énumérés dans l'information destinée aux patients (notice d'emballage) ainsi que dans l'information professionnelle.

Justification de la décision d'autorisation

Les données cliniques soumises montrent que l'odévixibat réduit de manière cliniquement significative les démangeaisons engendrées par l'accumulation d'acides biliaires chez les patientes et les patients atteints de PFIC et d'ALGS.

L'amélioration de la qualité de vie est considérable et le profil de sécurité a été considéré comme acceptable, malgré de possibles effets hépatotoxiques⁴ et carences en vitamines.

Aucun effet sur l'évolution de la pathologie sous-jacente n'a été montré.

L'autorisation a donc été accordée pour le traitement du prurit cholestatique dans les deux maladies rares évoquées.

Compte tenu du peu d'options thérapeutiques qui existent pour traiter le prurit en cas de PFIC et d'ALGS, au vu des données disponibles et en prenant en considération l'ensemble des risques et des précautions, les bénéfices de Bylvay sont supérieurs à ses risques. Swissmedic a donc autorisé en Suisse le médicament Bylvay, dont le principe actif est l'odévixibat.

Informations complémentaires sur le médicament

Information pour les personnes exerçant une profession médicale : [Information professionnelle de Bylvay®](#)

Information destinée aux patients (notice d'emballage) : [Information destinée aux patients de Bylvay®](#)

Les professionnels de santé sont là pour répondre à toute autre question.

Les présentes informations sont basées sur les informations disponibles à la date de publication du SwissPAR. Les nouvelles connaissances concernant le médicament autorisé ne sont pas intégrées dans le rapport succinct d'autorisation.

Les médicaments autorisés en Suisse sont sous la surveillance de Swissmedic. Swissmedic prendra les mesures qui s'imposent en cas de constatation de nouveaux effets indésirables ou en présence d'autres signaux de sécurité. De plus, Swissmedic recensera et publiera toute nouvelle connaissance susceptible d'avoir un impact sur la qualité, l'efficacité ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.

⁴ Hépatotoxique = toxique pour le foie