

Rapporto sintetico di omologazione del 23.03.2026

Bylvay® (principio attivo: odevixibat)

Omologazione in Svizzera: 04.12.2025

Capsule rigide per uso orale per il trattamento del prurito colestatico in pazienti con colestasi intraepatica familiare progressiva (PFIC) di età pari o superiore a 6 mesi o in pazienti con sindrome di Alagille (ALGS) di età pari o superiore a 12 mesi

Informazioni sul medicamento

Bylvay® contiene il principio attivo odevixibat.

Bylvay è un medicamento utilizzato per il trattamento del prurito intenso dovuto a stasi biliare in pazienti con PFIC di età pari o superiore a 6 mesi o con ALGS di età pari o superiore a 12 mesi.

PFIC e ALGS sono malattie ereditarie rare in cui il normale deflusso biliare può risultare impedito, con conseguente stasi biliare. Questo stato di cose provoca un aumento degli acidi biliari e di altri componenti della bile nel

sangue. Pertanto le/i pazienti colpite/i soffrono spesso di forte prurito.

Bylvay aiuta a ridurre l'accumulo di acidi biliari nell'organismo e, quindi, ad alleviare il prurito.

Poiché nel caso di PFIC e ALGS si tratta di malattie rare che possono comportare pericolo per la vita, Bylvay è stato omologato come «medicamento orfano». Sono definiti «orfani» i medicinali importanti per malattie rare.

Meccanismo d'azione

Il principio attivo odevixibat presente in Bylvay blocca il trasportatore specifico degli acidi biliari nell'intestino. Di conseguenza riduce il riassorbimento degli acidi biliari nel

corpo e diminuisce l'accumulo di acidi biliari nel sangue. Grazie a questo meccanismo d'azione è possibile attenuare il prurito.

Impiego

Bylvay è soggetto a prescrizione medica ed è disponibile in capsule rigide per uso orale in dosaggi da 200 µg, 400 µg, 600 µg e 1200 µg di odevixibat per capsula rigida.

La dose giornaliera iniziale abituale è di 40 µg/kg di peso corporeo per la PFIC e di 120 µg/kg di peso corporeo per la ALGS.

Si assume al mattino con o senza cibo. Le capsule rigide possono essere ingerite intere oppure si può aprirle e assumerne il contenuto dopo averlo mescolato con un cibo morbido o un liquido adatto all'età.

Se preparato con liquidi, si deve utilizzare una siringa per somministrazione orale.

Efficacia

L'efficacia di Bylvay è stata studiata in pazienti con PFIC e ALGS che soffrivano di prurito colestatico grave.

In uno studio di 24 settimane (A4250-005) su 62 bambini e adolescenti con PFIC, il trattamento con Bylvay ha portato a una notevole riduzione del prurito rispetto al trattamento con placebo (trattamento fittizio).

Una risposta clinicamente rilevante (punteggio del prurito ≤ 1 punto o miglioramento di ≥ 1 punto¹) è stata raggiunta nel 58,3 % delle/dei pazienti trattate/i con 40 µg/kg di Bylvay e nel 47,7 % delle/dei pazienti trattate/i con 120 µg/kg di Bylvay, rispetto al 28,7 % delle/dei pazienti trattate/i con placebo.

Una riduzione degli acidi biliari nel sangue ≥ 70 %, o un livello di acidi biliari ≤ 70 µmol/L, è stato raggiunto dal 43,5 % delle/dei pazienti trattate/i con 40 µg/kg di Bylvay e dal 21,1 % delle/dei pazienti trattate/i con 120 µg/kg di Bylvay, mentre nel gruppo placebo nessuna persona ha raggiunto questo endpoint.

In un trattamento a lungo termine della PFIC di durata fino a 96 settimane sono stati mantenuti i miglioramenti del prurito e dei livelli di acidi biliari nel sangue. Tuttavia, non è stato possibile dimostrare un effetto modificante la malattia (ad es. rallentamento delle complicanze epatiche gravi). L'omologazione è pertanto limitata al trattamento del prurito colestatico².

In uno studio di 24 settimane (A4250-012) su 52 pazienti con ALGS, Bylvay ha anche ottenuto una significativa attenuazione del prurito.

Anche gli acidi biliari nel sangue sono diminuiti considerevolmente.

Nell'ambito di un trattamento a lungo termine della ALGS, gli effetti sono rimasti stabili per un periodo fino a 96 settimane. Tuttavia, non è stato possibile dimostrare un beneficio in termini di decorso della malattia epatica.

¹ Il punteggio del prurito come strumento standardizzato – qui con l'uso di una scala di valutazione numerica – oggettivizza il prurito percepito soggettivamente su una scala da 0 (nessun prurito) a 4 (prurito più grave possibile) prima e dopo il trattamento.

² Prurito causato dall'alterazione del flusso biliare nel fegato o nelle vie biliari e, di conseguenza, dalle elevate quantità di acidi biliari presenti nel sangue.

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

Bylvay non deve essere usato in caso di ipersensibilità al principio attivo o a una qualsiasi delle sostanze ausiliarie.

Gli effetti indesiderati più comuni sono diarrea, dolori addominali e vomito.

Sono stati descritti anche aumenti dei valori epatici (ad es. ALT, AST, bilirubina) e riduzioni delle vitamine liposolubili (vitamine D ed E).

Tutte le misure precauzionali, i rischi e altri possibili effetti indesiderati sono elencati nell'informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo) e nell'informazione professionale.

Motivazione della decisione di omologazione

I dati clinici presentati mostrano che l'odevixibat riduce in modo clinicamente rilevante il prurito causato dall'accumulo di acidi biliari nelle/nei pazienti con PFIC e ALGS.

Il miglioramento della qualità della vita è considerevole, mentre il profilo di sicurezza, nonostante possibili eventi epatotossici³ e carenze vitaminiche, è stato valutato come accettabile.

Non è stato dimostrato alcun effetto sulla progressione della malattia di base.

L'omologazione è stata pertanto rilasciata per il trattamento del prurito colestatico in queste malattie rare.

Tenendo conto delle limitate opzioni terapeutiche del prurito nella PFIC e nella ALGS, nonché dei dati disponibili, di tutti i rischi e di tutte le misure precauzionali, i benefici di Bylvay superano i rischi. Swissmedic ha pertanto omologato per la Svizzera il medicamento Bylvay contenente il principio attivo odevixibat.

Maggiori informazioni sul medicamento

Informazione per il personale medico-sanitario: [Informazione professionale di Bylvay®](#)

Informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo): [Informazione destinata ai pazienti di Bylvay®](#)

Per altre domande, rivolgersi alle/ai professioniste/i della salute.

Lo stato di questa informazione corrisponde a quello dello SwissPAR. Le nuove conoscenze acquisite sul medicamento omologato non sono incluse nel Rapporto sintetico di omologazione.

I medicinali omologati in Svizzera sono monitorati da Swissmedic. In caso di nuovi effetti indesiderati riscontrati o di altri segnali rilevanti per la sicurezza, Swissmedic adotterà le misure necessarie. Swissmedic si occuperà di registrare e pubblicare qualsiasi nuova conoscenza acquisita concernente aspetti che potrebbero compromettere la qualità, l'efficacia o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.

³ Epatotossico = dannoso per il fegato.