



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

## COMMISSION DE LA TRANSPARENCE SYNTHÈSE D'AVIS 27 OCTOBRE 2021

*odevixibat*

BYLVAY 200, 400, 600, 1200 microgrammes, gélules

Première évaluation

### ► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement de la cholestase intrahépatique progressive familiale (PFIC) de type 1 et 2 (à l'exception du sous-type BSEP3) chez les patients âgés de 6 mois et plus.

Avis défavorable au remboursement dans les autres types de PFIC.

### ► Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique dans la prise en charge des patients âgés de 6 mois et plus atteints de PFIC de type 1 et 2 (à l'exception du sous-type BSEP3).

### ► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

Le traitement actuel des PFIC repose sur des thérapeutiques ayant une action non spécifique, utilisées pour lutter contre les symptômes et signes cliniques : apports nutritionnels, prévention des carences

vitaminiques, traitement des manifestations hépatiques dont le prurit sévère. Parmi les médicaments, sont utilisées hors AMM, l'acide ursodésoxycholique (sauf en cas de PFIC de type 3 où il dispose d'une AMM en France), la rifampicine, l'hydroxyzine, des antihistaminiques, la naltrexone. Aucun de ces médicaments n'a démontré d'effet à long terme et ne modifie le pronostic. Aussi, le recours à la chirurgie est nécessaire chez la plupart des patients, avec notamment la réalisation d'une dérivation biliaire externe, et la transplantation hépatique en dernier recours.

Le principal motif de recours à la dérivation biliaire est un prurit non contrôlé par les médicaments, notamment en cas de PFIC de type 2. De plus, les patients ayant eu une dérivation biliaire réussie peuvent toujours avoir des concentrations sériques en acides biliaires élevées et un prurit sévère.

En dernier recours, la transplantation hépatique est envisagée : elle supprime la cholestase chez les patients atteints de PFIC de types 1 et 2. Cependant, en cas de PFIC de type 1, des manifestations extrahépatiques peuvent survenir après transplantation.

On ne dispose donc pas de médicament spécifiquement indiqué en cas de PFIC (notamment de type 1 et 2, les plus fréquentes) et le besoin médical dans ces affections génétiques rares reste très important.

### **Place du médicament**

**Chez les patients atteints de PFIC de type 1 et 2, la Commission de la Transparence considère que BYLVAY (odevixibat) est un traitement de 2<sup>ème</sup> intention qui doit être prescrit en addition au traitement médical de 1<sup>ère</sup> intention (AUDC +/- rifampicine), lorsque le prescripteur juge nécessaire de poursuivre l'effort thérapeutique pour diminuer les concentrations sériques d'acides biliaires et/ou réduire le prurit afin d'améliorer la qualité de vie du patient.**

**Chez les patients atteints du sous-type BSEP3 de la PFIC de type 2 (odevixibat non efficace), et dans les autres types de PFIC, la place de BYLVAY (odevixibat) ne peut être déterminée faute de données cliniques.**

*Ce document a été élaboré à partir de l'avis de la Commission de la transparence disponible sur [www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr).*