
Modèle de résumé de rapport de synthèse

Accès précoce BYLVAY - Odevixibat

Rapport n° 1 Période du 6 avril 2023 au 6 décembre 2023

1- Introduction

Le 06/04/2023, la Haute Autorité de santé (HAS) a délivré une autorisation d'accès précoce (AAP), après avis de l'Agence Nationale de Sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) concernant le rapport bénéfice/risque présumé, pour le médicament BYLVAY, odevixibat, 200 microgrammes, 400 microgrammes, 600 microgrammes et 1 200 microgrammes, gélules dans l'indication : traitement du prurit cholestatique associé au syndrome d'Alagille pour les patients âgés de 6 mois ou plus.

La commercialisation du médicament dans le cadre de cette autorisation d'accès précoce a démarré le 6 juin 2023.

Ce médicament ne dispose pas encore d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) en France dans l'indication de l'accès précoce mais dispose d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) en France le 16 juillet 2021 dans l'indication « traitement de la cholestase intra hépatique progressive familiale (PFIC) ».

2- Données recueillies

Les données recueillies sur la période sont identiques aux données en cumulée sachant qu'il s'agit du premier rapport périodique.

a. Caractéristiques générales des patients / prescripteurs

Cette section n'est pas applicable car aucun patient n'a été inclus dans l'accès précoce pré-AMM au cours de la période de référence.

b. Conditions d'utilisation du médicament

Le traitement doit être instauré et supervisé par des médecins expérimentés dans la prise en charge du syndrome d'Alagille (ALGS).

Si nécessaire, les gélules de différents dosages peuvent être combinées pour obtenir la dose nominale.

La dose recommandée d'odevixibat est de 120 µg/kg administrée par voie orale une fois par jour le matin. L'odevixibat peut être pris avec ou sans aliments. Consulter le tableau ci-après pour connaître le dosage et le nombre de gélules qui doivent être prises quotidiennement en

fonction du poids corporel pour obtenir une dose approximative de 120 µg/kg/jour, avec une dose quotidienne maximale de 7 200 µg par jour.

Poids(kg)	Nombre de gélules de 600µg		Nombre de gélules de 1200 µg
4 to < 7.5	1	ou	N/A
7.5 to < 12.5	2	ou	1
12.5 to < 17.5	3	ou	N/A
17.5 to < 25.5	4	ou	2
25.5 to < 35.5	6	ou	3
35.5 to < 45.5	8	ou	4
45.5 to < 55.5	10	ou	5
≥ 55.5	12	ou	6

c. Données d'efficacité

Cette section n'est pas applicable car aucun patient n'a été inclus dans l'accès précoce pré-AMM au cours de la période de référence.

d. Données de qualité de vie

Cette section n'est pas applicable car aucun patient n'a été inclus dans l'accès précoce pré-AMM au cours de la période de référence.

e. Données nationales de pharmacovigilance

Au cours de la période de référence, aucun patient n'a été inscrit au programme d'accès anticipé avant l'autorisation de mise sur le marché.

Aucun cas grave ou non grave d'événement lié au traitement n'a été rapporté en France au cours de la période de déclaration.

Aucun événement grave ou non grave n'a été signalé en France au cours de la période de référence.

Nombre de cas de pharmacovigilance	Nombre de cas grave	Nombre de cas avec une issue fatale
0	0	0

Tableau 1: résumé des cas de pharmacovigilance survenus en France dans le cadre de l'accès précoce pendant la période de référence

3- Conclusion

Aucun patient n'a été inclus dans le programme d'accès précoce pré-AMM pour ALGS en France depuis le début du programme.

Aucun cas de pharmacovigilance n'a été rapporté pendant la période couverte par ce rapport.

En ce qui concerne les données internationales, d depuis la date de référence du développement international, le 3 juillet 2013 et jusqu'à la coupure des données du PBRER (15 juillet 2023), 185 volontaires sains et environ 392 sujets présentant des indications telles que le prurit cholestatique, l'atrésie biliaire, le syndrome d'Alagille et la cholestase intrahépatique progressive familiale ont été recrutés dans le programme d'étude clinique de l'odevixibat parrainé par Albireo. En outre, 9 sujets recrutés dans un essai à l'initiative de

l'investigateur (A4250PBCpruritus) pour l'indication cirrhose biliaire primitive ont été exposés à l'odevixibat. Sur les 586 sujets recrutés dans les études cliniques sur l'odevixibat, environ 464 ont reçu l'odevixibat. Depuis le premier lancement et jusqu'à la coupure des données du PBRER (15 juillet 2023), l'exposition cumulée estimée était de 484 patients (252 dans l'EEE et 232 dans les pays hors EEE).

Au cours de l'intervalle de déclaration de ce rapport (du 6 avril 2023 au 6 décembre 2023), aucun résultat significatif en matière de sécurité concernant l'odevixibat n'a été identifié dans la littérature, qu'ils soient publiés dans des revues scientifiques à comité de lecture ou mis à disposition sous la forme de manuscrits non publiés.

Il n'y a pas de données suggérant de nouveaux problèmes de sécurité importants liés à l'utilisation clinique de l'odevixibat.

Par conséquent, le rapport bénéfice/risque global reste favorable.