



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/2113/2022
EMA/H/C/004869

Oxbryta (*voxelotor*)

Общ преглед на Oxbryta и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Oxbryta и за какво се използва?

Oxbryta е лекарство, което се използва за лечение на хемолитична анемия (прекомерно разрушаване на червените кръвни клетки) при пациенти на възраст 12 и повече години със сърповидно-клетъчна анемия. Oxbryta може да се прилага самостоятелно или в комбинация с друго лекарство при сърповидно-клетъчна болест, наречено хидроксикарбамид.

Сърповидно-клетъчната анемия е генетично заболяване, при което хората произвеждат абнормна форма на хемоглобин (протеинът в червените кръвни клетки, който пренася кислорода).

Червените кръвни клетки стават твърди и лепливи и от дисковидна придобиват формата на полумесец (или сърп). Сърповидно-клетъчната анемия се счита за рядко заболяване и Oxbryta е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 18 ноември 2016 г. Допълнителна информация за „лекарства сираци“ можете да намерите тук: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769.

Oxbryta съдържа активното вещество вокселотор (*voxelotor*).

Как се използва Oxbryta?

Oxbryta се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да бъде започнато от лекар с опит в лечението на сърповидно-клетъчна анемия.

Лекарството се предлага под формата на таблетки за прием през устата, а обичайната препоръчителна доза е 1500 mg, приемана веднъж дневно.

За повече информация относно употребата на Oxbryta вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Oxbryta?

При сърповидно-клетъчна анемия сърповидното изменение на червените кръвни клетки настъпва, когато абнормният хемоглобин освобождава кислорода си и след това се нагъва заедно, за да образува твърди вериги, които променят формата на клетките и причиняват по-бързото им разграждане. Освен че потенциално блокира кръвоносните съдове, това води до по-малък брой червени кръвни клетки и по-малко функциониращ хемоглобин, който може да пренася кислород в

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



организма. Активното вещество в Oxbryta, вокселотор, действа, като подобрява способността на хемоглобина да задържа кислород и предотвратява образуването на вериги. Това помага на червените кръвни клетки да поддържат нормална форма и гъвкавост, като намалява прекалено разпада и подобрява живота им.

Какви ползи от Oxbryta са установени в проучванията?

В основно проучване, обхващащо 247 пациенти на възраст от 12 до 64 години със сърповидно-клетъчна болест, е показано, че Oxbryta подобрява хемолитичната анемия. На пациентите се прилага Oxbryta или плацебо (сляпо лечение), както и продължително лечение с хидроксикарбамид, ако вече получават такова. В началото на лечението средното ниво на хемоглобина е 8,5 g на dL кръв. След лечение в продължение на 24 седмици нивото на хемоглобина се подобрява с поне 1 g на dL при около 51 % от групата, приемаща Oxbryta 1500 mg дневно (46 от 90 пациенти), в сравнение с 6,5 % от приемщите плацебо (6 от 92). Други мерки също показват, че Oxbryta намалява разграждането на червените кръвни клетки.

Какви са рисковете, свързани с Oxbryta?

Най-честите нежелани реакции при Oxbryta (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) са главоболие, диария и коремна болка. Най-сериозните нежелани реакции, които засягат около 1 на 100 души, включват главоболие и реакции на свръхчувствителност (алергични реакции).

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Oxbryta вижте листовката.

Защо Oxbryta е разрешен за употреба в ЕС?

Прилаганите понастоящем лечения за сърповидно-клетъчна анемия вече включват лекарства за предотвратяване на болезнените кризи, причинени от сърповидните клетки, които блокират кръвоснабдяването на жизненоважни органи. Съществува обаче неудовлетворена медицинска нужда от лечения за овладяване на анемията, свързана със заболяването, което води до умора и хронична болка и допринася за други усложнения. Показано е, че Oxbryta подобрява анемията, като увеличава нивата на хемоглобина и намалява разграждането на червените кръвни клетки. Все още не е ясно до каква степен това ще подобри клиничните симптоми и качеството на живот в по-дългосрочен план, тъй като действието на лекарството може също да намали способността на хемоглобина да отделя кислород в тъканите на тялото. Въпреки това, тъй като изглежда, че нежеланите реакции са ограничени и могат да бъдат овладени, Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Oxbryta са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Oxbryta?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Oxbryta, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Oxbryta непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Oxbryta, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Oxbryta:

Допълнителна информация за Oxbryta можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta.