



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/52774/2026  
EMA/H/C/006496

## Xolremdi (mavorixafor)

Общ преглед на Xolremdi на разбираем език и основания за разрешаване в ЕС

### Какво представлява Xolremdi и за какво се използва?

Xolremdi е лекарство за лечение на WHIM синдром при възрастни и юноши на възраст 12 и повече години. Използва се за увеличаване на броя на зрелите неутрофили и лимфоцити в кръвообращението (видове бели кръвни клетки).

WHIM синдромът е наследствено заболяване, при което имунната система (естествените защитни сили на организма) не функционира правилно, което прави пациентите по-податливи на бактериални и вирусни инфекции. WHIM означава брадавици (кожни израстъци, които потенциално биха могли да станат ракови), хипогамаглобулинемия (ниско ниво на антитела в кръвта), инфекции и миелокатекси (състояние, при което някои бели кръвни клетки остават блокирани в костния мозък, вместо да циркулират в кръвообращението, което ги възпрепятства да се борят с инфекциите).

WHIM синдромът се счита за рядко заболяване и Xolremdi е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 25 юли 2019 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци има на [уебсайта](#) на ЕМА.

Xolremdi съдържа активното вещество мавориксафор (mavorixafor).

### Как се използва Xolremdi?

Лекарството се отпуска по лекарско предписание. Лечението трябва да се започне само от лекари специалисти с опит в диагностицирането или лечението на имунни дефицити (когато имунната система не функционира правилно).

Xolremdi се предлага под формата на капсули, които се приемат през устата веднъж дневно на празен стомах без прием на храна през нощта и най-малко 30 минути преди хранене.

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

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Как действа Xolremdi?

При хора с WHIM синдром мутациите (промените) в гена за рецептора CXCR4 го правят по-адаптивен към CXCL12 (сигнална молекула); тази повишена реакция причинява задържането на зрелите неутрофили и лимфоцити в костния мозък, което предотвратява навлизането им в кръвта с цел борба с инфекциите.

Активното вещество в Xolremdi, мавориксафор, се свързва с рецептора CXCR4 и го блокира, като предотвратява взаимодействието му с CXCL12. По този начин мавориксафор помага за освобождаването на зрели неутрофили и лимфоцити от костния мозък в кръвообращението, като по този начин увеличава тяхната наличност за поддържане на имунната система.

## Какви ползи от Xolremdi са установени в проучванията?

Показано е, че Xolremdi е ефективен за увеличаване на броя на циркулиращите зрели неутрофили и лимфоцити при хора с WHIM синдром.

В едно основно проучване, обхващащо 31 души на възраст 12 години и повече с WHIM синдром, Xolremdi е сравнен с плацебо (сляпо лечение); основната мярка за ефективност е времето, през което броят на неутрофилите или лимфоцитите на пациентите остава над определено ниво за период от 24 часа, измерено четири пъти (на всеки три месеца) по време на едногодишното проучване.

При хората, приемащи Xolremdi, броят на неутрофилите остава средно над 500 клетки/микротитър в продължение на 15,0 часа в сравнение с 2,8 часа при пациентите, приемащи плацебо. Времето, през което броят на лимфоцитите е останал над 1000 клетки/микролитър, е 15,8 часа при хората, приемащи Xolremdi, в сравнение с 4,6 часа при тези в групата на плацебо. Освен това пациентите, приемащи Xolremdi, имат по-малко инфекции в сравнение с пациентите, приемащи плацебо; не е доказано обаче въздействие върху брадавиците (и следователно върху риска от развитие на рак).

Проучванията, проведени със Xolremdi, са описани по-подробно в доклада за оценка на лекарството.

## Какви са нежеланите реакции и ограниченията при Xolremdi?

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

Най-честите нежелани реакции при Xolremdi (може да засегнат повече от 1 на 10 души) включват стомашно-чревни ефекти (напр. гадене), диария, повръщане, диспепсия (лошо храносмилане) и коремна болка), обрив и главоболие. Стомашно-чревните нежелани реакции обикновено отшумяват през първите 3 месеца, дори ако приемът на Xolremdi продължи.

Xolremdi не трябва да се използва по време на бременност. Тъй като Xolremdi инхибира ензима CYP2D6, той не трябва да се използва заедно с лекарства, чието елиминиране от организма зависи от CYP2D6 (напр. декстрометорфан, кодеин и трамадол).

## Защо Xolremdi е разрешен за употреба в ЕС?

Показано е, че Xolremdi е ефективен за увеличаване на броя на циркулиращите зрели неутрофили и лимфоцити при хора с WHIM синдром, което се очаква да намали риска от инфекции. Що се отнася до безопасността, наличните данни сочат, че нежеланите реакции като цяло могат да бъдат овладени.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Xolremdi са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Xolremdi е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Причината е, че не е било възможно да се получи пълна информация за Xolremdi поради рядкото разпространение на заболяването. Фирмата трябва да предостави допълнителни данни за Xolremdi. Необходимо е да подаде резултатите от базирано на регистър проучване за дългосрочната безопасност и ефективност на Xolremdi и да предоставя годишни актуализации на всяка нова информация относно безопасността и ефективността на лекарството. Всяка година Агенцията ще извършва преглед на новата информация.

### **Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Xolremdi?**

Фирмата, която предлага Xolremdi, ще предостави обучителни материали на лекарите, които се очаква да предписват Xolremdi, за да ги информира относно риска от увреждане на нероденото бебе, ако лекарството се приема по време на бременност. Съществува и риск от увреждане на бебетата от мъже, лекувани с Xolremdi.

На пациентите от мъжки и женски пол също ще бъде предоставена карта, която им напомня колко е важно да използват ефективни противозачатъчни методи (контрацепция)) по време на лечението с Xolremdi и в продължение на три седмици след последната доза, както и да се свържат с лекаря си, ако имат съмнения за бременност.

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

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

### **Допълнителна информация за Xolremdi:**

Допълнителна информация за Xolremdi, включително листовката и доклада за оценка, има на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xolremdi](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xolremdi).

За да разберете дали лекарството се предлага във вашата държава, се свържете с [националния компетентен орган](#).