



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Oxbryta (*voxelotorum*)

Přehled pro přípravek Oxbryta a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Oxbryta a k čemu se používá?

Oxbryta je léčivý přípravek používaný k léčbě hemolytické anémie (nadměrného rozpadu červených krvinek) u pacientů ve věku 12 let a starších se srpkovitou anémií. Přípravek Oxbryta může být podáván samostatně, nebo v kombinaci s jiným léčivem na srpkovitou anémii zvaným hydroxykarbamid.

Srpkovitá anémie je genetické onemocnění, při kterém pacienti vytvářejí abnormální formu hemoglobinu (bílkoviny v červených krvinkách, která přenáší kyslík). Červené krvinky ztrácí pružnost a stávají se přilnavými a jejich tvar se mění z diskovitého na pŕlměsíčitý (připomíná srp). Srpkovitá anémie je vzácné onemocnění a přípravek Oxbryta byl označen dne 18. listopadu 2016 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769.

Přípravek Oxbryta obsahuje léčivou látku voxelotor.

Jak se přípravek Oxbryta používá?

Výdej přípravku Oxbryta je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit lékař, který má zkušenosti s léčbou srpkovité anémie.

Přípravek je dostupný ve formě tablet, které se užívají ústy, přičemž obvyklá doporučená dávka je 1 500 mg jednou denně.

Více informací o používání přípravku Oxbryta naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Oxbryta působí?

U srpkovité anémie se tvar červených krvinek stává srpkovitým. Abnormální hemoglobin uvolňuje kyslík a poté se shlukuje a vytváří nepružné řetězce, v důsledku čehož červené krvinky mění tvar a rychleji se rozpadají. Kromě potenciálního blokování krevních cév to vede k nižšímu počtu červených krvinek a menší schopnosti hemoglobinu přenášet v těle kyslík. Léčivá látka v přípravku Oxbryta, voxelotor, působí tak, že zlepšuje schopnost hemoglobinu vázat kyslík a zabraňuje mu ve vytváření

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



řetězců. To pomáhá červeným krvinkám udržet si normální tvar a pružnost, v důsledku čehož se omezují jejich nadměrný rozpad a prodlužuje jejich životnost.

Jaké přínosy přípravku Oxbryta byly prokázány v průběhu studií?

V hlavní studii, do které bylo zařazeno 247 pacientů ve věku od 12 do 64 let se srpkovitou anémií, bylo prokázáno, že přípravek Oxbryta zmírňuje hemolytickou anémii. Pacientům byl podáván přípravek Oxbryta, nebo placebo (neúčinný přípravek) a nadále také hydroxykarbamid, pokud ho již užívali. Na začátku léčby byla průměrná hladina hemoglobinu 8,5 g na dl krve. Po 24 týdnech léčby se hladina hemoglobinu zvýšila nejméně o 1 g na dl u přibližně 51 % (46 z 90) pacientů užívajících přípravek Oxbryta v dávce 1 500 mg denně oproti 6,5 % (6 z 92) pacientů, kterým bylo podáváno placebo. Snížení míry rozpadu červených krvinek při užívání přípravku Oxbryta bylo doloženo také pomocí dalších ukazatelů.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Oxbryta?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Oxbryta (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou bolest hlavy, průjem a bolest břicha. Mezi nejzávažnější nežádoucí účinky, které postihují přibližně 1 osobu ze 100, patří bolest hlavy a hypersenzitivní (alergické) reakce.

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Oxbryta je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Oxbryta registrován v EU?

Stávající léčby srpkovité anémie již zahrnují léčivé přípravky k prevenci bolestivých krizí způsobených tím, že srpkovité buňky zabraňují zásobování životně důležitých orgánů krví. V souvislosti s tímto onemocněním však existuje nenaplněná potřeba léčby anémie, jelikož vede k únavě a chronické bolesti a přispívá k dalším komplikacím. Bylo prokázáno, že přípravek Oxbryta zmírňuje anémii zvýšením hladiny hemoglobinu a snížením míry rozpadu červených krvinek. Zatím není jasné, do jaké míry se tím v dlouhodobém horizontu zmírní klinické příznaky a zlepší kvalita života, neboť působení tohoto přípravku může také snížit schopnost hemoglobinu uvolňovat kyslík do tělních tkání. Jelikož se však zdá, že nežádoucí účinky jsou omezené a zvladatelné, Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Oxbryta převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Oxbryta?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Oxbryta, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Oxbryta průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Oxbryta jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Oxbryta

Další informace o přípravku Oxbryta jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta.