



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Xolremdi (*mavorixafor*)

Přehled pro přípravek Xolremdi ve srozumitelném jazyce a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Xolremdi a k čemu se používá?

Xolremdi je léčivý přípravek k léčbě WHIM syndromu u dospělých a dospívajících ve věku od 12 let. Používá se ke zvýšení počtu cirkulujících zralých neutrofilů a lymfocytů (typů bílých krvinek).

WHIM syndrom je vrozené onemocnění, při kterém imunitní systém (přirozený obranný systém těla) nefunguje správně, což vede k tomu, že pacienti jsou náchylnější k bakteriálním a virovým infekcím. WHIM je zkratka označující bradavice (kožní výrůstky (angl. warts), které by se mohly stát rakovinnými), hypogamaglobulinemii (nízkou hladinu protilátek v krvi), infekce a myelokathexii (onemocnění, kdy některé bílé krvinky zůstávají uvězněny v kostní dřeni namísto toho, aby cirkulovaly v krevním oběhu, což jim brání v boji proti infekcím).

WHIM syndrom je vzácné onemocnění a přípravek Xolremdi byl označen dne 25. července 2019 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Přípravek Xolremdi obsahuje léčivou látku mavorixafor.

Jak se přípravek Xolremdi používá?

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měli zahájit pouze lékaři specialisté se zkušenostmi s diagnostikou nebo léčbou imunodeficiency (kdy imunitní systém nefunguje správně).

Přípravek Xolremdi je k dispozici ve formě tobolek určených k užití ústy jednou denně nalačno po celonočním lačnění a nejméně 30 minut před jídlem.

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



Jak přípravek Xolremdi působí?

U osob s WHIM syndromem mutace (změny) v genu pro receptor CXCR4 zvyšují jeho reaktivitu na CXCL12 (signální molekulu); tato zvýšená reaktivita způsobuje, že zralé neutrofilů a lymfocyty zůstávají uvězněny uvnitř kostní dřeně, což jim brání ve vstupu do krevního oběhu za účelem boje proti infekcím.

Léčivá látka v přípravku Xolremdi, mavorixafor, se váže na receptor CXCR4 a blokuje jej, čímž zabraňuje jeho interakci s CXCL12. Tímto způsobem pomáhá mavorixafor uvolňovat zralé neutrofilů a lymfocyty z kostní dřeně do krevního oběhu, čímž zvyšuje jejich dostupnost na podporu imunitního systému.

Jaké přínosy přípravku Xolremdi byly prokázány v průběhu studií?

Bylo prokázáno, že přípravek Xolremdi je účinný při zvyšování počtu zralých neutrofilů a lymfocytů v krevním oběhu u osob s WHIM syndromem.

V jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 31 osob ve věku od 12 let s WHIM syndromem, byl přípravek Xolremdi porovnáván s placebem (neúčinným přípravkem). Hlavním měřítkem účinnosti byla doba, po kterou počet neutrofilů nebo lymfocytů pacientů zůstal nad určitou hodnotou během 24 hodin, přičemž tato doba byla měřena čtyřikrát (každé tři měsíce) v průběhu jednoleté studie.

U osob užívajících přípravek Xolremdi se počet neutrofilů udržel nad hodnotou 500 buněk/mikrolitr po dobu 15,0 hodiny, přičemž u osob užívajících placebo to bylo 2,8 hodiny. Doba, po kterou zůstal počet lymfocytů nad hodnotou 1 000 buněk/mikrolitr byla u osob užívajících přípravek Xolremdi 15,8 hodiny, zatímco u osob ve skupině s placebem to bylo 4,6 hodiny. Pacienti, kterým byl podáván přípravek Xolremdi, navíc trpěli méně infekcemi než pacienti, kterým bylo podáváno placebo. Účinek přípravku na bradavice (a tudíž na riziko rozvoje nádorového onemocnění) však nebyl prokázán.

Studie provedené s přípravkem Xolremdi jsou podrobněji popsány v hodnotící zprávě přípravku.

Jaké jsou nežádoucí účinky a omezení přípravku Xolremdi?

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

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Xolremdi (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou gastrointestinální účinky (jako je nauzea (pocit na zvracení), průjem, zvracení, dyspepsie (zažívací potíže) a bolest břicha), vyrážka a bolest hlavy. Gastrointestinální nežádoucí účinky obvykle odezní během prvních tří měsíců, a to i v případě, že se v léčbě přípravkem Xolremdi pokračuje.

Přípravek Xolremdi se nesmí užívat během těhotenství. Jelikož přípravek Xolremdi inhibuje enzym CYP2D6, nesmí se užívat společně s léčivými přípravky, jejichž vylučování z těla je závislé na CYP2D6 (jako je dextromethorfan, kodein a tramadol).

Na základě čeho byl přípravek Xolremdi registrován v EU?

Bylo prokázáno, že přípravek Xolremdi je účinný při zvyšování počtu zralých neutrofilů a lymfocytů v krevním oběhu u osob s WHIM syndromem, což by mělo snížit riziko infekcí. Pokud jde o jeho bezpečnost, dostupné údaje naznačují, že nežádoucí účinky jsou obecně zvladatelné.

Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Xolremdi převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravek Xolremdi byl registrován za „výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze tohoto onemocnění nebylo možné o přípravku Xolremdi získat úplné informace. Společnost musí

poskytnout další údaje o přípravku Xolremdi. Musí předložit výsledky studie založené na registru pacientů, která se týká dlouhodobé bezpečnosti a účinnosti přípravku Xolremdi, a každoročně poskytovat aktualizované informace o všech nových poznatcích týkajících se bezpečnosti a účinnosti tohoto léčivého přípravku. Agentura každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace.

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

Společnost, která přípravek Xolremdi dodává na trh, poskytne lékařům, u nichž se předpokládá, že budou přípravek Xolremdi předepisovat, edukační materiály, v nichž je informuje o riziku poškození plodu v těle matky, pokud se léčivý přípravek užívá během těhotenství. Existuje rovněž riziko poškození pro děti narozené pacientům mužského pohlaví léčeným přípravkem Xolremdi.

Pacienti i pacientky rovněž obdrží kartu, která jim připomene důležitost používání účinných antikoncepčních metod (kontrola početí) během léčby přípravkem Xolremdi a po dobu tří týdnů po podání poslední dávky a upozorní je, aby se v případě podezření na těhotenství obrátili na svého lékaře.

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

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

Další informace o přípravku Xolremdi

Další informace o přípravku Xolremdi, včetně příbalové informace a hodnotící zprávy, jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xolremdi.

Informace o dostupnosti tohoto přípravku ve vaší zemi vám poskytne [příslušný vnitrostátní orgán](#).