



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Xolremdi (*mavorixafor*)

En letlæselig oversigt over Xolremdi, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Xolremdi, og hvad anvendes det til?

Xolremdi er et lægemiddel til behandling af WHIM-syndrom hos voksne og unge fra 12-årsalderen. Det anvendes til at øge antallet af cirkulerende modne neutrofiler og lymfocytter (typer af hvide blodlegemer).

WHIM-syndrom er en arvelig sygdom, hvor immunforsvaret ikke fungerer korrekt, hvilket gør patienter mere følsomme over for bakterie- og virusinfektioner. WHIM står for vorter (hudvækster, der potentielt kan blive til kræftceller), hypogammaglobulinæmi (lavt niveau af antistoffer i blodet), infektioner og myelokateksi (en tilstand, hvor visse hvide blodlegemer forbliver i knoglemarven i stedet for at cirkulere i blodbanen, hvilket forhindrer dem i at bekæmpe infektioner).

WHIM-syndrom er sjældent, og Xolremdi blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 25. juli 2019. Der findes mere information om lægemidler til sjældne sygdomme på [EMA's websted](#).

Xolremdi indeholder det aktive stof mavorixafor.

Hvordan anvendes Xolremdi?

Lægemidlet fås kun på recept. Behandling bør kun indledes af speciallæger, der har erfaring med diagnosticering eller behandling af immundefekter (når immunforsvaret ikke fungerer korrekt).

Xolremdi udleveres som kapsler, der tages gennem munden én gang dagligt på tom mave efter at have fastet natten over og mindst 30 minutter før et måltid.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Xolremdi, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Xolremdi?

Hos personer med WHIM-syndrom øger mutationer (ændringer) i genet for CXCR4-receptoren dets respons på CXCL12 (et signalmolekyle). Dette øgede respons bevirker, at modne neutrofiler og lymfocytter tilbageholdes i knoglemarven, hvilket forhindrer dem i at trænge ind i blodet for at bekæmpe infektioner.

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



Det aktive stof i Xolremdi, mavorixafor, binder sig til og blokerer CXCR4-receptoren og forhindrer dermed dens interaktion med CXCL12. På denne måde medvirker mavorixafor ved frigivelsen af modne neutrofiler og lymfocytter fra knoglemarven til blodbanen, hvorved de bliver tilgængelige til at støtte immunforsvaret.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Xolremdi?

Xolremdi viste sig at være effektivt til at øge antallet af cirkulerende modne neutrofiler og lymfocytter hos personer med WHIM-syndrom.

I et hovedstudie blandt 31 personer fra 12-årsalderen med WHIM-syndrom blev Xolremdi sammenlignet med placebo (en uvirksom behandling). Virkningen blev hovedsagelig bedømt på den tid, hvor patienternes neutrofil- eller lymfocytantal forblev over et bestemt niveau i løbet af en 24-timers periode, målt fire gange (hver tredje måned) i løbet af det etårige studie.

Hos personer, der fik Xolremdi, forblev neutrofilantallet i gennemsnit over 500 celler/mikroliter i 15,0 timer, sammenlignet med 2,8 timer hos dem, der fik placebo. Den tid, lymfocytantallet forblev over 1 000 celler/mikroliter, var 15,8 timer for personer, der fik Xolremdi, sammenlignet med 4,6 timer for dem i placebogruppen. Desuden havde patienter, der fik Xolremdi, færre infektioner end dem, der fik placebo; der blev dog ikke påvist nogen effekt på vorter (og dermed på risikoen for at udvikle kræft).

De gennemførte studier med Xolremdi er beskrevet nærmere i lægemidlets vurderingsrapport.

Hvilke bivirkninger og begrænsninger er der ved Xolremdi?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Xolremdi fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Xolremdi (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) omfatter gastrointestinale bivirkninger (såsom kvalme, diarré, opkastning, dyspepsi (fordøjelsesbesvær) og mavesmerter), udslæt og hovedpine. De gastrointestinale bivirkninger forsvinder normalt inden for de første 3 måneder, selvom behandling med Xolremdi fortsættes.

Xolremdi må ikke anvendes under graviditet. Da Xolremdi hæmmer CYP2D6-enzymet, må det ikke anvendes sammen med lægemidler, hvis udskillelse fra kroppen afhænger af CYP2D6 (såsom dextromethorphan, codein og tramadol).

Hvorfor er Xolremdi godkendt i EU?

Xolremdi viste sig at være effektivt til at øge antallet af cirkulerende modne neutrofiler og lymfocytter hos personer med WHIM-syndrom, hvilket forventes at reducere risikoen for infektioner. Hvad sikkerheden angår, tyder de foreliggende oplysninger på, at bivirkningerne generelt er håndterbare.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Xolremdi opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Xolremdi er blevet godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det grundet sygdommens sjældenhed ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Xolremdi. Virksomheden skal fremlægge flere oplysninger om Xolremdi. Den skal indsende resultaterne af et registerbaseret studie af den langsigtede sikkerhed og effektivitet ved Xolremdi samt årligt fremlægge opdateringer om eventuelle nye oplysninger vedrørende lægemidlets sikkerhed og effektivitet. Hvert år vil agenturet gennemgå alle nye oplysninger, der bliver tilgængelige.

Hvad gøres der for at sikre, at Xolremdi anvendes sikkert og effektivt?

Virksomheden, der markedsfører Xolremdi, vil udlevere oplysningsmateriale til læger, der forventes at ordinere Xolremdi, for at oplyse dem om risikoen for fosterskader, hvis lægemidlet tages under graviditet. Der er også risiko for skade hos spædbørn født af mænd, der er behandlet med Xolremdi.

Mandlige og kvindelige patienter vil også få udleveret et kort, der gør dem opmærksomme på vigtigheden af at anvende effektiv prævention under behandling med Xolremdi og i tre uger efter den sidste dosis, samt at kontakte deres læge, hvis der er mistanke om graviditet.

Der er også anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at de anvender Xolremdi sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver oplysninger vedrørende anvendelsen af Xolremdi løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Xolremdi vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Xolremdi

Der findes mere information om Xolremdi, herunder indlægssedlen og vurderingsrapporten, på agenturets websted: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xolremdi.

Hvis du ønsker at vide, om lægemidlet er tilgængeligt i dit land, kan du kontakte den [nationale kompetente myndighed](#).