



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Oxbryta (*Voxelotor*)

Übersicht über Oxbryta und warum es in der EU zugelassen ist

### Was ist Oxbryta und wofür wird es angewendet?

Oxbryta ist ein Arzneimittel zur Behandlung hämolytischer Anämie (übermäßiger Abbau roter Blutkörperchen) bei Patienten ab 12 Jahren mit Sichelzellanämie. Oxbryta kann allein oder zusammen mit einem anderen Arzneimittel, dem sogenannten Hydroxycarbamid, zur Behandlung der Sichelzellerkrankung angewendet werden.

Die Sichelzellerkrankung ist eine genetische Erkrankung, bei der Personen eine abnorme Form von Hämoglobin (das Protein in den roten Blutkörperchen, das Sauerstoff transportiert) produzieren. Die roten Blutkörperchen werden starr und klebrig und verändern sich von scheiben- zu halbmondförmig (wie eine Sichel). Die Sichelzellerkrankung ist „selten“, und Oxbryta wurde am 18. November 2016 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie hier:

[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769).

Oxbryta enthält den Wirkstoff Voxelotor.

### Wie wird Oxbryta angewendet?

Oxbryta ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und die Behandlung sollte von einem in der Behandlung der Sichelzellerkrankung erfahrenen Arzt eingeleitet werden.

Das Arzneimittel ist als Tabletten zum Einnehmen erhältlich, und die übliche empfohlene Dosis beträgt 1 500 mg einmal täglich.

Weitere Informationen zur Anwendung von Oxbryta entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

### Wie wirkt Oxbryta?

Bei der Sichelzellerkrankung kommt es zur Versichelung der roten Blutkörperchen, wenn das abnorme Hämoglobin seinen Sauerstoff freisetzt und sich dann verklumpt, sodass es starre Ketten bildet, die die Form der Zellen verändern und zu einem schnelleren Zellabbau führen. Dies führt nicht nur zu einer potenziellen Blockierung von Blutgefäßen, sondern auch zu einer geringeren Anzahl roter Blutkörperchen und weniger funktionierendem Hämoglobin, das Sauerstoff durch den Körper

---

**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



transportieren kann. Der Wirkstoff in Oxbryta, Voxelotor, wirkt, indem er die Fähigkeit des Hämoglobins zur Bindung von Sauerstoff verbessert und die Bildung von Ketten verhindert. Dies hilft den roten Blutkörperchen, eine normale Form und Flexibilität aufrechtzuerhalten, wodurch ihr übermäßiger Abbau reduziert und ihre Lebensdauer verbessert wird.

## **Welchen Nutzen hat Oxbryta in den Studien gezeigt?**

In einer Hauptstudie mit 247 Patienten im Alter von 12 bis 64 Jahren mit Sichelzellanämie wurde gezeigt, dass Oxbryta die hämolytische Anämie lindert. Die Patienten erhielten Oxbryta oder Placebo (eine Scheinbehandlung) und setzten die Behandlung mit Hydroxycarbamid fort, falls sie diese bereits erhielten. Zu Beginn der Behandlung betrug der durchschnittliche Hämoglobinspiegel 8,5 g pro Deziliter Blut. Nach 24-wöchiger Behandlung hatte sich der Hämoglobinspiegel bei etwa 51 % der Gruppe, die Oxbryta 1 500 mg täglich erhielt (46 von 90 Patienten), um mindestens 1 g pro Deziliter verbessert, verglichen mit 6,5 % der Patienten unter Placebo (6 von 92). Andere Maßnahmen zeigten ebenfalls eine Verringerung des Abbaus roter Blutkörperchen im Zusammenhang mit Oxbryta.

## **Welche Risiken sind mit Oxbryta verbunden?**

Sehr häufige Nebenwirkungen von Oxbryta (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Kopfschmerzen, Durchfall und Bauchschmerzen. Zu den schwerwiegendsten Nebenwirkungen, die etwa 1 von 100 Behandelten betreffen, gehören Kopfschmerzen und Überempfindlichkeitsreaktionen (allergische Reaktionen).

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Oxbryta berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

## **Warum wurde Oxbryta in der EU zugelassen?**

Die aktuellen Behandlungen der Sichelzellkrankheit umfassen bereits Arzneimittel zur Vorbeugung schmerzhafter Krisen, die entstehen, wenn Sichelzellen die Blutversorgung lebenswichtiger Organe blockieren. Es besteht jedoch ein ungedeckter medizinischer Bedarf an Behandlungen für die mit der Erkrankung einhergehende Anämie, die zu Müdigkeit und chronischen Schmerzen führt und zu anderen Komplikationen beiträgt. Oxbryta verbessert lindert die Anämie, indem es die Hämoglobinwerte erhöht und den Abbau von roten Blutkörperchen reduziert. Es ist noch nicht klar, inwieweit dies die klinischen Symptome und die Lebensqualität langfristig verbessern wird, da die Wirkung des Arzneimittels auch die Fähigkeit des Hämoglobins, Sauerstoff in das Körpergewebe freizusetzen, verringern kann. Da die Nebenwirkungen jedoch begrenzt und beherrschbar zu sein scheinen, gelangte die Europäische Arzneimittel-Agentur zu dem Schluss, dass der Nutzen von Oxbryta gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

## **Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Oxbryta ergriffen?**

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Oxbryta, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Oxbryta kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Oxbryta werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

## **Weitere Informationen über Oxbryta**

Weitere Informationen zu Oxbryta finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta).