



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Xolremdi (*Mavorixafor*)

Leicht verständliche Übersicht über Xolremdi und warum es in der EU zugelassen ist

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

Xolremdi ist ein Arzneimittel zur Behandlung des WHIM-Syndroms bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren. Es wird angewendet, um die Anzahl der zirkulierenden reifen Neutrophilen und Lymphozyten (Arten weißer Blutzellen) zu erhöhen.

Das WHIM-Syndrom ist eine Erbkrankheit, bei der das Immunsystem (die natürliche Abwehr des Körpers) nicht richtig funktioniert, wodurch die Patienten anfälliger für bakterielle und virale Infektionen werden. WHIM steht für Warzen (Hautwucherungen, die möglicherweise krebsartig werden könnten), Hypogammaglobulinämie (niedriger Antikörperspiegel im Blut), Infektionen und Myelokathexis (eine Erkrankung, bei der bestimmte weiße Blutzellen im Knochenmark eingeschlossen bleiben, anstatt im Blut zu zirkulieren, wodurch sie keine Infektionen bekämpfen können).

WHIM-Syndrom ist selten, und Xolremdi wurde am 25. Juli 2019 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den [Internetseiten](#) der EMA.

Xolremdi enthält den Wirkstoff Mavorixafor.

### Wie wird Xolremdi angewendet?

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung sollte nur von Fachärzten mit Erfahrung im Bereich der Diagnose oder Behandlung von Immundefekten (wenn das Immunsystem nicht richtig funktioniert) eingeleitet werden.

Xolremdi ist als Kapseln erhältlich, die einmal täglich nach Nahrungskarenz über Nacht und mindestens 30 Minuten vor der Mahlzeit eingenommen werden.

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

---

**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



## Wie wirkt Xolremdi?

Bei Menschen mit WHIM-Syndrom erhöhen Mutationen (Veränderungen) des Gens für den CXCR4-Rezeptor dessen Empfindlichkeit für CXCL12 (ein Signalmolekül). Diese erhöhte Empfindlichkeit führt dazu, dass reife Neutrophilen und Lymphozyten im Knochenmark eingeschlossen bleiben und nicht ins Blut gelangen, um Infektionen zu bekämpfen.

Der Wirkstoff in Xolremdi, Mavorixafor, bindet an den CXCR4-Rezeptor und blockiert ihn, wodurch seine Wechselwirkung mit CXCL12 verhindert wird. Auf diese Weise hilft Mavorixafor dabei, reife Neutrophile und Lymphozyten aus dem Knochenmark ins Blut freizusetzen, sodass mehr von ihnen zur Unterstützung des Immunsystems zur Verfügung stehen.

## Welchen Nutzen hat Xolremdi in den Studien gezeigt?

Xolremdi erwies sich bei der Erhöhung der Anzahl zirkulierender reifer Neutrophile und Lymphozyten bei Personen mit WHIM-Syndrom als wirksam.

In einer Hauptstudie, an der 31 Personen ab 12 Jahren mit WHIM-Syndrom teilnahmen, wurde Xolremdi mit Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Zeit, die die Neutrophilen- oder Lymphozytenzahlen der Patienten über einen Zeitraum von 24 Stunden bei viermaliger Messung (alle drei Monate) während der einjährigen Studie oberhalb einer bestimmten Konzentration blieben.

Bei Patienten, die Xolremdi einnahmen, blieb die Neutrophilenzahl durchschnittlich 15,0 Stunden über 500 Zellen/Mikroliter, verglichen mit 2,8 Stunden bei Patienten, die Placebo erhielten. Die Zeit, während der die Lymphozytenzahl über 1 000 Zellen/Mikroliter lag, betrug 15,8 Stunden bei den Patienten, die Xolremdi einnahmen, verglichen mit 4,6 Stunden bei den Patienten in der Placebo-Gruppe. Darüber hinaus hatten Patienten, die Xolremdi erhielten, weniger Infektionen als Patienten, die Placebo erhielten; eine Wirkung auf Warzen (und damit auf das Risiko für die Entwicklung von Krebs) wurde jedoch nicht nachgewiesen.

Studien, die mit Xolremdi durchgeführt wurden, werden im Beurteilungsbericht des Arzneimittels ausführlicher beschrieben.

## Welche Nebenwirkungen und Einschränkungen gibt es bei Xolremdi?

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

Sehr häufige Nebenwirkungen von Xolremdi (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind gastrointestinale Effekte (wie Übelkeit, Durchfall, Erbrechen, Dyspepsie (Verdauungsstörungen) und Bauchschmerzen), Hautausschlag und Kopfschmerzen. Gastrointestinale Nebenwirkungen klingen in der Regel innerhalb der ersten 3 Monate ab, auch wenn die Behandlung mit Xolremdi fortgesetzt wird.

Xolremdi darf nicht während der Schwangerschaft angewendet werden. Da Xolremdi das CYP2D6-Enzym hemmt, darf es nicht zusammen mit Arzneimitteln angewendet werden, deren Elimination aus dem Körper von CYP2D6 abhängt (wie Dextromethorphan, Codein und Tramadol).

## Warum wurde Xolremdi in der EU zugelassen?

Xolremdi hat sich bei der Erhöhung der Anzahl zirkulierender reifer Neutrophilen und Lymphozyten bei Personen mit WHIM-Syndrom als wirksam erwiesen. Es wird davon ausgegangen, dass dadurch das

Infektionsrisiko verringert wird. In Bezug auf die Sicherheit deuten die verfügbaren Daten darauf hin, dass die Nebenwirkungen im Allgemeinen beherrschbar sind.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Xolremdi gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Xolremdi wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über Xolremdi zu erlangen. Das Unternehmen muss weitere Daten zu Xolremdi vorlegen. Es muss die Ergebnisse einer Registerstudie zur langfristigen Sicherheit und Wirksamkeit von Xolremdi vorlegen und jährlich aktualisierte Informationen über die Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels bereitstellen. Die Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden.

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

Das Unternehmen, das Xolremdi in Verkehr bringt, wird Ärzten, die Xolremdi voraussichtlich verschreiben, Informationsmaterial zur Verfügung stellen, um sie über das Risiko einer Schädigung des ungeborenen Kindes zu informieren, wenn das Arzneimittel während der Schwangerschaft eingenommen wird. Es besteht auch ein Risiko einer Schädigung für Babys, die von mit Xolremdi behandelten Männern gezeugt wurden.

Männliche und weibliche Patienten erhalten außerdem eine Karte, in der sie daran erinnert werden, wie wichtig es ist, während der Behandlung mit Xolremdi und drei Wochen nach der letzten Dosis eine zuverlässige Verhütungsmethode anzuwenden und ihren Arzt zu konsultieren, falls ein Verdacht auf Schwangerschaft besteht.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Xolremdi, die von medizinischen Fachkräften und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

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

### **Weitere Informationen über Xolremdi**

Weitere Informationen, einschließlich der Packungsbeilage und des Beurteilungsberichts, zu Xolremdi finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xolremdi](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xolremdi).

Wenn Sie Informationen zur Verfügbarkeit dieses Arzneimittels in Ihrem Land benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihre [zuständige nationale Behörde](#).