



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Χολρεμδί (μαβοριξαφόρη)

Ανασκόπηση του Χολρεμδί σε απλή γλώσσα και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

### Τι είναι το Χολρεμδί και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Χολρεμδί είναι φάρμακο για τη θεραπεία του συνδρόμου WHIM σε ενήλικες και εφήβους ηλικίας 12 ετών και άνω. Χρησιμοποιείται για την αύξηση του αριθμού των ώριμων ουδετερόφιλων και λεμφοκυττάρων (τύποι λευκών αιμοσφαιρίων) στην κυκλοφορία του αίματος.

Το σύνδρομο WHIM είναι μια κληρονομική νόσος στην οποία το ανοσοποιητικό σύστημα (η φυσική άμυνα του οργανισμού) δεν λειτουργεί σωστά, καθιστώντας τους ασθενείς πιο ευάλωτους σε βακτηριακές και ιογενείς λοιμώξεις. Η πλήρης ονομασία του συνδρόμου WHIM είναι warts, (ακροχορδώνες, μυρμηκίες, που μπορεί να προκαλέσουν καρκίνο), hyrogammaglobulinemia (υπογαμμασφαιριναιμία, χαμηλό επίπεδο των αντισωμάτων στο αίμα), infections (λοιμώξεις) και myelokathexis (μυελοκάθεξη, πάθηση κατά την οποία ορισμένα λευκά αιμοσφαίρια παραμένουν εγκλωβισμένα στον μυελό των οστών, αντί να κυκλοφορούν στο αίμα, καθιστώντας δυσκολότερη την καταπολέμηση των λοιμώξεων).

Το σύνδρομο WHIM είναι «σπάνιο» και το Χολρεμδί χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 25 Ιουλίου 2019. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε [στον δικτυακό τόπο](#) του EMA.

Το Χολρεμδί περιέχει τη δραστική ουσία μαβοριξαφόρη.

### Πώς χρησιμοποιείται το Χολρεμδί;

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται μόνο από εξειδικευμένους γιατρούς με εμπειρία στη διάγνωση ή τη θεραπεία ανοσοανεπαρκειών (όταν το ανοσοποιητικό σύστημα δεν λειτουργεί κανονικά).

Το Χολρεμδί διατίθεται υπό μορφή καψακίων τα οποία λαμβάνονται από το στόμα μία φορά την ημέρα με άδειο στομάχι μετά από ολονύκτια νηστεία και τουλάχιστον 30 λεπτά πριν από το φαγητό.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Χολρεμδί, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

**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



## **Πώς δρα το Xolremdi;**

Σε άτομα με σύνδρομο WHIM, οι μεταλλάξεις (αλλαγές) στο γονίδιο του υποδοχέα CXCR4 αυξάνουν την ανταπόκριση του υποδοχέα αυτού στον CXCL12 (μόριο σηματοδότησης). Αυτή η αυξημένη ανταπόκριση προκαλεί την κατακράτηση ώριμων ουδετερόφιλων και λεμφοκυττάρων στο εσωτερικό του μυελού των οστών, εμποδίζοντας την είσοδό τους στο αίμα για την καταπολέμηση των λοιμώξεων.

Η δραστική ουσία του Xolremdi, η μαβοριξαφόρη, προσκολλάται στον υποδοχέα CXCR4 και τον αναστέλλει, εμποδίζοντας την αλληλεπίδρασή του με τον CXCL12. Κατ' αυτόν τον τρόπο, η μαβοριξαφόρη βοηθά στην απελευθέρωση ώριμων ουδετερόφιλων και λεμφοκυττάρων από τον μυελό των οστών στο αίμα και, ως εκ τούτου, αυξάνει τη διαθεσιμότητά τους για την υποστήριξη του ανοσοποιητικού συστήματος.

## **Ποια είναι τα οφέλη του Xolremdi σύμφωνα με τις μελέτες;**

Το Xolremdi αποδείχθηκε αποτελεσματικό στην αύξηση του αριθμού των ώριμων ουδετερόφιλων και λεμφοκυττάρων στην κυκλοφορία του αίματος σε άτομα με σύνδρομο WHIM.

Σε μία κύρια μελέτη στην οποία μετείχαν 31 άτομα ηλικίας 12 ετών και άνω με σύνδρομο WHIM, το Xolremdi συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν το χρονικό διάστημα που ο αριθμός των ουδετερόφιλων ή λεμφοκυττάρων των ασθενών παρέμειναν πάνω από ένα ορισμένο επίπεδο σε χρονικό διάστημα 24 ωρών, μετρούμενο τέσσερις φορές (κάθε τρεις μήνες) κατά τη διάρκεια της μονοετούς μελέτης.

Στα άτομα που έλαβαν Xolremdi, ο αριθμός των ουδετερόφιλων παρέμεινε πάνω από 500 κύτταρα/μικρολίτρο κατά μέσο όρο για 15,0 ώρες σε σύγκριση με 2,8 ώρες που ήταν το αντίστοιχο διάστημα για τα άτομα που έλαβαν εικονικό φάρμακο. Ο χρόνος παραμονής του αριθμού των λεμφοκυττάρων άνω των 1.000 κυττάρων/μικρολίτρο ήταν 15,8 ώρες για τα άτομα που έλαβαν Xolremdi, σε σύγκριση με 4,6 ώρες για τα άτομα που έλαβαν εικονικό φάρμακο. Επιπλέον, οι ασθενείς που έλαβαν Xolremdi εμφάνισαν λιγότερες λοιμώξεις από εκείνους που έλαβαν εικονικό φάρμακο. Ωστόσο, δεν καταδείχθηκε η επίδραση σε ακροχορδώνες (και, συνεπώς, στον κίνδυνο ανάπτυξης καρκίνου).

Οι μελέτες που πραγματοποιήθηκαν για το Xolremdi περιγράφονται λεπτομερέστερα στην έκθεση αξιολόγησης του φαρμάκου.

## **Ποιες είναι οι ανεπιθύμητες ενέργειες και οι περιορισμοί του Xolremdi;**

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Xolremdi περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Xolremdi (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι γαστρεντερικές διαταραχές [όπως ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας), διάρροια, έμετος, δυσπεψία και κοιλιακό άλγος], εξάνθημα και κεφαλαλγία. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες του γαστρεντερικού υποχωρούν συνήθως εντός των πρώτων 3 μηνών, ακόμη και αν συνεχιστεί η θεραπεία με Xolremdi.

Το Xolremdi δεν πρέπει να χορηγείται κατά τη διάρκεια της κύησης. Δεδομένου ότι το Xolremdi αναστέλλει το ένζυμο CYP2D6, δεν πρέπει να χορηγείται σε συνδυασμό με φάρμακα που εξαρτώνται από το CYP2D6 (όπως δεξτρομεθορφάνη, κωδεΐνη και τραμαδόλη) για την απομάκρυνσή τους από τον οργανισμό.

## Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Xolremdi στην ΕΕ;

Το Xolremdi αποδείχθηκε αποτελεσματικό στην αύξηση του αριθμού των ώριμων ουδετερόφιλων και λεμφοκυττάρων στην κυκλοφορία αίματος σε άτομα με σύνδρομο WHIM, γεγονός που αναμένεται να μειώσει τον κίνδυνο λοιμώξεων. Σε ό,τι αφορά την ασφάλεια, τα διαθέσιμα δεδομένα υποδεικνύουν ότι οι ανεπιθύμητες ενέργειες είναι σε γενικές γραμμές διαχειρίσιμες.

Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Xolremdi υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Το Xolremdi εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», διότι, λόγω της σπανιότητας της πάθησης, δεν κατέστη δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το Xolremdi. Η εταιρεία υποχρεούται να προσκομίσει περαιτέρω στοιχεία σχετικά με το Xolremdi. Πρέπει να υποβάλει τα αποτελέσματα μελέτης μητρώου σχετικά με τη μακροπρόθεσμη ασφάλεια και αποτελεσματικότητα του Xolremdi και να παρέχει ετήσιες επικαιροποιήσεις σχετικά με τυχόν νέες πληροφορίες που αφορούν την ασφάλεια και την αποτελεσματικότητα του φαρμάκου. Ο Οργανισμός θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο.

## Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Xolremdi;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Xolremdi θα παράσχει εκπαιδευτικό υλικό στους γιατρούς που αναμένεται να συνταγογραφήσουν το Xolremdi για να τους ενημερώσει σχετικά με τον κίνδυνο να προκληθεί βλάβη στο έμβρυο σε περίπτωση λήψης του φαρμάκου κατά τη διάρκεια της εγκυμοσύνης. Υπάρχει επίσης κίνδυνος να προκληθεί βλάβη σε βρέφη όταν ο πατέρας έχει λάβει Xolremdi.

Στους άνδρες και στις γυναίκες ασθενείς θα δοθεί επίσης κάρτα ασθενούς στην οποία θα τους υπενθυμίζεται η σημασία της χρήσης αποτελεσματικών μεθόδων αντισύλληψης (ελέγχου γεννήσεων) κατά τη διάρκεια της θεραπείας με Xolremdi και για τρεις εβδομάδες μετά την τελευταία δόση, καθώς και η ανάγκη να ενημερώσουν τον γιατρό τους σε περίπτωση υποψίας εγκυμοσύνης.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Xolremdi.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Xolremdi τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Xolremdi αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

## Λοιπές πληροφορίες για το Xolremdi

Περισσότερες πληροφορίες για το Xolremdi, καθώς και το φύλλο οδηγιών χρήσης και η έκθεση αξιολόγησης, διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xolremdi](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xolremdi).

Για πληροφορίες σχετικά με τη διαθεσιμότητα αυτού του φαρμάκου στη χώρα σας, επικοινωνήστε με την [εθνική αρμόδια αρχή](#).