



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Oxbryta (*voxelotor*)

En oversigt over Oxbryta, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Oxbryta, og hvad anvendes det til?

Oxbryta er et lægemiddel, der anvendes til at behandle hæmolytisk anæmi (overdreven nedbrydning af røde blodlegemer) hos patienter fra 12-årsalderen med seglcellesygdom. Oxbryta kan gives som enkeltstofbehandling eller sammen med et andet lægemiddel mod seglcellesygdom kaldet hydroxycarbamid.

Seglcellesygdom er en genetisk sygdom, hvor en person producerer en unormal form for hæmoglobin (proteinet i røde blodlegemer, som transporterer ilt). De røde blodlegemer bliver stive og klæbrige og ændrer sig fra at være skiveformede til at være halvmåneformede (som et segl). Seglcellesygdom er sjælden, og Oxbryta blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 18. november 2016. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769.

Oxbryta indeholder det aktive stof voxelotor.

Hvordan anvendes Oxbryta?

Oxbryta fås kun på recept, og behandling bør indledes af en læge, der har erfaring med behandling af seglcellesygdom.

Lægemidlet findes som tabletter, der tages gennem munden. Den sædvanlige anbefalede dosis er 1 500 mg én gang dagligt.

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

Hvordan virker Oxbryta?

Ved seglcellesygdom bliver de røde blodlegemer seglformede, når det abnorme hæmoglobin frigiver sin ilt og derefter klumper sammen og danner stive kæder, der får blodlegemerne til at ændre form og nedbrydes hurtigere. Ud over potentielt at blokere blodkarrene mindsker dette antallet af røde blodlegemer og nedsætter mængden af fungerende hæmoglobin, som kan transportere ilt rundt i kroppen. Det aktive stof i Oxbryta, voxelotor, virker ved at forbedre hæmoglobinet's evne til at holde



på ilten og forhindre det i at danne kæder. Dette hjælper de røde blodlegemer med at bevare deres normale form og fleksibilitet, reducerer deres overskydende nedbrydning og forbedrer deres levetid.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Oxbryta?

Oxbryta har vist sig at medføre en bedring ved hæmolytisk anæmi i et hovedstudie med 247 patienter i alderen 12-64 år med seglcellesygdom. Patienterne fik Oxbryta eller placebo (en uvirksom behandling) samt fortsatte deres behandling med hydroxycarbamid, hvis de allerede fik det. Ved behandlingens start var det gennemsnitlige hæmoglobinniveau 8,5 g pr. dl blod. Efter behandling i 24 uger var hæmoglobinniveauet forbedret med mindst 1 g pr. dl hos ca. 51 % af patienterne i den gruppe, der fik Oxbryta 1 500 mg dagligt (46 ud af 90 patienter), mod 6,5 % af dem, der fik placebo (6 ud af 92). Andre målinger pegede også på et fald i nedbrydningen af røde blodlegemer med Oxbryta.

Hvilke risici er der forbundet med Oxbryta?

De hyppigste bivirkninger ved Oxbryta (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er hovedpine, diarré og mavesmerter. De alvorligste bivirkninger, som optræder hos ca. 1 ud af 100 personer, er hovedpine og hypersensibilitet (allergiske reaktioner).

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

Hvorfor er Oxbryta godkendt i EU?

De nuværende behandlinger for seglcellesygdom omfatter allerede lægemidler til forebyggelse af de smertefulde kriser, der indtræffer, når seglceller blokerer blodforsyningen til vitale organer. Der er imidlertid et uopfyldt medicinsk behov for behandling af den anæmi, der er forbundet med sygdommen, og som medfører træthed og kroniske smerter og bidrager til andre komplikationer. Oxbryta har vist sig at medføre en bedring ved anæmi, da det øger hæmoglobinniveauet og mindsker nedbrydningen af røde blodlegemer. Det er endnu ikke klart, i hvilket omfang dette vil forbedre de kliniske symptomer og livskvaliteten på længere sigt, da lægemidlet også kan forringe hæmoglobinet's evne til at frigive ilt til kroppens væv. Da bivirkningerne imidlertid synes at være begrænsede og håndterbare, konkluderede Det Europæiske Lægemiddelagentur, at fordelene ved Oxbryta opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Oxbryta?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Oxbryta.

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

Andre oplysninger om Oxbryta

Yderligere information om Oxbryta findes på agenturets websted under:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta.