



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Οxbryta (βοξελοτόρη)

Ανασκόπηση του Οxbryta και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Οxbryta και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Οxbryta είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία της αιμολυτικής αναιμίας (υπερβολική διάσπαση των ερυθρών αιμοσφαιρίων) σε ασθενείς ηλικίας 12 ετών και άνω που πάσχουν από δρεπανοκυτταρική νόσο. Το Οxbryta μπορεί να χορηγείται ως μονοθεραπεία ή σε συνδυασμό με ένα άλλο φάρμακο για τη δρεπανοκυτταρική νόσο, το οποίο ονομάζεται υδροξυκαρβαμίδη.

Η δρεπανοκυτταρική νόσος είναι μια γενετική νόσος κατά την οποία τα άτομα παράγουν μια μη φυσιολογική μορφή αιμοσφαιρίνης (η πρωτεΐνη των ερυθρών αιμοσφαιρίων που μεταφέρει οξυγόνο). Τα ερυθρά αιμοσφαίρια καθίστανται άκαμπτα και κολλώδη και το σχήμα τους μεταβάλλεται από δισκοειδές σε μηνοειδές (μοιάζει με σχήμα δρεπανιού). Η δρεπανοκυτταρική νόσος είναι «σπάνια» και το Οxbryta χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 18 Νοεμβρίου 2016. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769.

Το Οxbryta περιέχει τη δραστική ουσία βοξελοτόρη.

Πώς χρησιμοποιείται το Οxbryta;

Το Οxbryta χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με εμπειρία στη θεραπεία της δρεπανοκυτταρικής νόσου.

Το φάρμακο διατίθεται υπό μορφή δισκίων για χορήγηση από το στόμα και η συνήθης συνιστώμενη δόση είναι 1.500 mg μία φορά την ημέρα.

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

Πώς δρα το Οxbryta;

Στη δρεπανοκυτταρική νόσο, η δρεπάνωση των ερυθρών αιμοσφαιρίων εμφανίζεται όταν η μη φυσιολογική αιμοσφαιρίνη αποδεσμεύει το οξυγόνο της και στη συνέχεια συσσωματώνεται για να σχηματίσει άκαμπτες αλυσίδες που μεταβάλλουν το σχήμα των κυττάρων και προκαλούν την ταχύτερη διάσπασή τους. Το γεγονός αυτό, πέραν του ότι πιθανώς φράσσει τα αιμοφόρα αγγεία, επιφέρει τη

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



μείωση του αριθμού των ερυθρών αιμοσφαιρίων καθώς και τη μείωση της λειτουργικής αιμοσφαιρίνης που μπορεί να μεταφέρει οξυγόνο σε όλον τον οργανισμό. Η δραστική ουσία του Oxbrvta, η βοξελοτόρη, δρα βελτιώνοντας την ικανότητα της αιμοσφαιρίνης να διατηρεί το οξυγόνο και εμποδίζοντας τη δημιουργία αλυσίδων. Αυτό βοηθά τα ερυθρά αιμοσφαίρια να διατηρούν το φυσιολογικό σχήμα και την ευελιξία τους, περιορίζοντας την υπερβολική διάσπασή τους και βελτιώνοντας τη διάρκεια ζωής τους.

Ποια είναι τα οφέλη του Oxbrvta σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Oxbrvta έχει αποδειχθεί ότι βελτιώνει την αιμολυτική αναιμία σε μια κύρια μελέτη στην οποία μετείχαν 247 ασθενείς ηλικίας 12 έως 64 ετών με δρεπανοκυτταρική νόσο. Στους ασθενείς χορηγήθηκε Oxbrvta ή εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) παράλληλα με τη θεραπεία με υδροξυκαρβαμίδα, εάν ήδη λάμβαναν τέτοιου είδους θεραπεία. Κατά την έναρξη της θεραπείας, το μέσο επίπεδο αιμοσφαιρίνης ήταν 8,5 g ανά dL αίματος. Έπειτα από θεραπεία 24 εβδομάδων, τα επίπεδα αιμοσφαιρίνης βελτιώθηκαν κατά τουλάχιστον 1 g ανά dL στο 51% περίπου της ομάδας που έλαβε Oxbrvta σε δόση 1.500 mg ημερησίως (46 από τους 90 ασθενείς) έναντι 6,5% των ασθενών που έλαβαν εικονικό φάρμακο (6 από τους 92). Άλλοι δείκτες μέτρησης κατέδειξαν επίσης μειωμένη διάσπαση των ερυθρών αιμοσφαιρίων με το Oxbrvta.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Oxbrvta;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Oxbrvta (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι πονοκέφαλος, διάρροια και κοιλιακό άλγος. Οι σοβαρότερες ανεπιθύμητες ενέργειες, οι οποίες επηρεάζουν περίπου 1 στα 100 άτομα, περιλαμβάνουν κεφαλαλγία και αντιδράσεις υπερευαισθησίας (αλλεργία).

Για τον πλήρη κατάλογο όλων των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που έχουν αναφερθεί με το Oxbrvta, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Oxbrvta στην ΕΕ;

Στις τρέχουσες θεραπείες για τη δρεπανοκυτταρική νόσο περιλαμβάνονται ήδη φάρμακα για την πρόληψη των επώδυνων κρίσεων που προκαλούνται όταν τα δρεπανοκύτταρα αναστέλλουν την παροχή αίματος σε ζωτικά όργανα. Ωστόσο, υπάρχει ανικανοποίητη ιατρική ανάγκη για την ανάπτυξη θεραπειών με στόχο τη διαχείριση της αναιμίας που σχετίζεται με την πάθηση, η οποία οδηγεί σε κόπωση και χρόνιο πόνο, ενώ συμβάλλει και σε άλλες επιπλοκές. Το Oxbrvta έχει αποδειχθεί ότι βελτιώνει την αναιμία μέσω της αύξησης των επιπέδων αιμοσφαιρίνης και της μειωμένης διάσπασης των ερυθρών αιμοσφαιρίων. Δεν είναι ακόμη σαφές σε ποιο βαθμό αυτό θα βελτιώσει τα κλινικά συμπτώματα και την ποιότητα ζωής μακροπρόθεσμα, καθώς η δράση του φαρμάκου μπορεί επίσης να μειώσει την ικανότητα της αιμοσφαιρίνης να αποδεσμεύει οξυγόνο στους ιστούς του οργανισμού. Ωστόσο, δεδομένου ότι οι ανεπιθύμητες ενέργειες φαίνεται να είναι περιορισμένες και διαχειρίσιμες, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Oxbrvta υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Oxbrvta;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν 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 Oxbrvta.

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

Λοιπές πληροφορίες για το Oxbrvta

Περισσότερες πληροφορίες για το Oxbrvta διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση

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