



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Oxbryta (vokselotoor)

Ülevaade ravimist Oxbryta ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Oxbryta ja milleks seda kasutatakse?

Oxbryta on ravim, mida kasutatakse hemolüütilise aneemia (erütrotsüütide ehk vere punaliblede liigse lagunemise) raviks vähemalt 12-aastastel sirprakkaigusega patsientidel. Oxbrytat tohib manustada ainuravimina või koos teise sirprakkaiguse ravimiga, mida nimetatakse hüdroksükarbamiidiks.

Sirprakkaigus on geneetiline haigus, mille korral tekib hemoglobiini (vere punaliblede valk, mis kannab hapnikku) ebanormaalne vorm. Erütrotsüüdid muutuvad jäigaks ja kleepuvaks ning kettakujulisest sirpjaks. Sirprakkaigus esineb harva ja Oxbryta nimetati 18. novembril 2016 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769.

Oxbryta sisaldab toimeainena vokselotoori.

Kuidas Oxbrytat kasutatakse?

Oxbryta on retseptiravim ja ravi peab alustama sirprakkaiguse ravis kogenud arst.

Ravimit turustatakse suukaudsete tablettidena ja tavaline soovitatav annus on 1500 mg üks kord ööpäevas.

Lisateavet Oxbryta kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Oxbryta toimib?

Sirprakkaiguse korral muutuvad erütrotsüüdid sirbikujuliseks, kui ebanormaalne hemoglobiin vabastab hapniku ja seejärel agregeerub, moodustades jäiku ahelaid, mis muudavad rakkude kuju ja kiirendavad nende lagunemist. Peale veresoonte võimaliku ummistamise vähendab see ka erütrotsüütide arvu ja tekib vähem toimivat hemoglobiini, mis suudab organismis hapnikku laiali kanda. Oxbryta toimeaine vokselotoor parandab hemoglobiini võimet hapnikku siduda ja takistab sellel ahelate moodustumist. See aitab erütrotsüütidel säilitada normaalset kuju ja paindlikkust, vähendades nende liigset lagunemist ja parandades nende eluiga.



Milles seisneb uuringute põhjal Oxbryta kasulikkus?

Põhiuuringus, milles osales 247 sirprakkaigusega 12–64-aastast patsienti, tõendati, et Oxbryta leevendab hemolüütilist aneemiat. Patsientidele manustati Oxbrytat või platseebot (näiv ravim) ning jätkati hüdroksükarbamiidravi, kui nad juba said seda. Ravi alguses oli vere keskmine hemoglobiinisisaldus 8,5 g/dl. Pärast 24-nädalast ravi oli Oxbrytat 1500 mg ööpäevas saanud patsientidest patsiente, kellel oli hemoglobiinisisaldus paranenud vähemalt 1 g/dl võrra, ligikaudu 51% (46 patsienti 90st) ja platseebot saanud patsientidest 6,5% (6 patsienti 92st). Ka muud näitajad tõendasid erütrotsüütide lagunemise vähenemist Oxbryta kasutamisel.

Mis riskid Oxbrytaga kaasnevad?

Oxbryta kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on peavalu, kõhulahtisus ja kõhuvalu. Kõige raskemad kõrvalnähud (võivad esineda ligikaudu 1 patsiendil 100st) on peavalu ja ülitundlikkusreaktsioonid (allergilised reaktsioonid).

Oxbryta kohta teatatud kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Oxbryta ELis heaks kiideti?

Sirprakkaiguse praegused ravimeetodid hõlmavad juba ravimeid, mis ennetavad valulikke kriise, mis tekivad, kui sirpjad rakud blokeerivad elutähtsate elundite verevarustust. Siiski on täitmata ravivajadus haigusega seotud aneemia raviks, mis põhjustab väsimust ja kroonilist valu ning soodustab muid tüsistusi. On tõendatud, et Oxbryta leevendab aneemiat, suurendades hemoglobiinisisaldust ja vähendades erütrotsüütide lagunemist. Ei ole veel selge, kui palju see leevendab kliinilisi sümptomeid ja parandab elukvaliteeti pikemas perspektiivis, sest ravimi toime võib vähendada ka hemoglobiini võimet vabastada organismi kudedesse hapnikku. Et kõrvalnähud näivad olevat piiratud ja hallatavad, otsustas Euroopa Raviamet, et Oxbryta kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Oxbryta ohutu ja efektiivne kasutamine?

Oxbryta ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, tehakse Oxbryta kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Oxbryta kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Oxbryta kohta

Lisateave Oxbryta kohta on ameti veebilehel:

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