



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Oxbryta (vokselotor)

Pregled informacija o lijeku Oxbryta i zašto je odobren u EU-u

Što je Oxbryta i za što se koristi?

Oxbryta je lijek za liječenje hemolitičke anemije (prekomjerne razgradnje crvenih krvnih stanica) u bolesnika u dobi od 12 godina i starijih koji imaju bolest srpastih stanica. Oxbryta se može primjenjivati kao monoterapija ili u kombinaciji s hidroksikarbamidom, drugim lijekom za liječenje bolesti srpastih stanica.

Bolest srpastih stanica genetska je bolest koja u bolesnika uzrokuje proizvodnju izmijenjenog oblika hemoglobina (proteina u crvenim krvnim stanicama koji prenosi kisik). Crvene krvne stanice postaju krute i ljepljive te se njihov oblik diska mijenja u oblik polumjeseca (nalik srpu). Bolest srpastih stanica rijetka je bolest, a lijek Oxbryta dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 18. studenoga 2016. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje:

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

Oxbryta sadrži djelatnu tvar vokselotor.

Kako se Oxbryta primjenjuje?

Oxbryta se izdaje samo na recept, a liječenje treba započeti liječnik s iskustvom u liječenju bolesti srpastih stanica.

Lijek je dostupan u obliku tableta koje se uzimaju kroz usta, a uobičajena preporučena doza je 1 500 mg jedanput na dan.

Za više informacija o primjeni lijeka Oxbryta pročitajte uputu o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Oxbryta?

U bolesti srpastih stanica crvene krvne stanice poprimaju srpasti oblik kada izmijenjeni hemoglobin otpušta kisik, a potom se sljepljuje te se stvaraju kruti lanci zbog kojih stanice mijenjaju oblik i brže se razgrađuju. Osim što može blokirati krvne žile, to dovodi do manjeg broja crvenih krvnih stanica i slabije sposobnosti hemoglobina da prenosi kisik u tijelu. Djelatna tvar lijeka Oxbryta, vokselotor, djeluje tako što poboljšava sposobnost hemoglobina da zadrži kisik i spriječi stvaranje lanaca. To

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



pomaže crvenim krvnim stanicama da zadrže normalan oblik i fleksibilnost, čime se smanjuje njihova prekomjerna razgradnja i produžuje im se životni vijek.

Koje su koristi od lijeka Oxbryta utvrđene u ispitivanjima?

U glavnom ispitivanju, u kojem je sudjelovalo 247 bolesnika s bolešću srpastih stanica u dobi od 12 godina do 64 godine, utvrđeno je da lijek Oxbryta ublažava hemolitičku anemiju. Bolesnici su primili lijek Oxbryta ili placebo (prividno liječenje) uz nastavak terapije hidroksikarbamidom ako su je dotad primali. Na početku liječenja prosječna razina hemoglobina iznosila je 8,5 g po dl krvi. Nakon 24 tjedna terapije razina hemoglobina povećala se za najmanje 1 g po dl u otprilike 51 % skupine koja je primala lijek Oxbryta, u dozi od 1 500 mg dnevno (46 od 90 bolesnika), u usporedbi sa 6,5 % onih koji su primali placebo (6 od 92). Drugim je mjerilima također utvrđeno smanjenje razgradnje crvenih krvnih stanica primjenom lijeka Oxbryta.

Koji su rizici povezani s lijekom Oxbryta?

Najčešće nuspojave lijeka Oxbryta (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) jesu glavobolja, proljev i bol u abdomenu (trbuhu). Najozbiljnije nuspojave, koje se javljaju u otprilike 1 na 100 osoba, uključuju glavobolju i reakcije preosjetljivosti (alergijske reakcije).

Potpuni popis nuspojava i ograničenja pri primjeni lijeka Oxbryta potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Oxbryta odobren u EU-u?

Postojeće terapije za bolest srpastih stanica već uključuju lijekove za sprječavanje bolnih kriza koje nastaju kada srpaste stanice blokiraju dotok krvi u vitalne organe. Međutim, postoji nezadovoljena medicinska potreba za liječenjem anemije povezane s tom bolešću, koja uzrokuje umor i kronični bol te doprinosi razvoju drugih komplikacija. Dokazano je da lijek Oxbryta ublažava anemiju povećanjem razina hemoglobina i smanjivanjem razgradnje crvenih stanica. Još nije jasno u kojoj će mjeri to dugoročno poboljšati kliničke simptome i kvalitetu života jer djelovanje lijeka može i smanjiti sposobnost hemoglobina da otpušta kisik u tkiva tijela. Međutim, budući da se čini da su nuspojave ograničene i da se mogu kontrolirati, Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Oxbryta nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena cjepiva Oxbryta?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Oxbryta nalaze se u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Oxbryta kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave lijeka Oxbryta pažljivo se ocjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Oxbryta

Više informacija o lijeku Oxbryta dostupno je na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta.