



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Oxbryta (*voxelotor*)

Az Oxbryta-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Oxbryta és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Oxbryta-t a legalább 12 éves, sarlósejtes betegségben szenvedő betegeknél fellépő hemolitikus anémia (a vörösvérsejtek túlzott lebomlása) kezelésére alkalmazzák. Az Oxbryta alkalmazható önmagában vagy a sarlósejtes betegség kezelésére szolgáló másik gyógyszerrel, a hidroxikarbammiddal együtt.

A sarlósejtes betegség egy genetikai eredetű betegség, amely során az betegek szervezetében a hemoglobin (a vörösvérsejtekben az oxigént szállító fehérje) egy kóros formája termelődik. A vörösvérsejtek rugalmatlanná és ragadóssá válnak, és formájuk korong alakúról sarló alakúra változik. Mivel a sarlósejtes betegség „ritkának” minősül, ezért a Oxbryta-t 2016. november 18-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769.

Az Oxbryta hatóanyaga a voxelotor.

Hogyan kell alkalmazni az Oxbryta-t?

Az Oxbryta csak receptre kapható, és a kezelést a sarlósejtes betegség kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie.

A gyógyszer szájon át alkalmazandó tablettá formájában kapható, és a szokásos javasolt adagja naponta egyszer 1500 mg.

Az Oxbryta alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását az Oxbryta?

Sarlósejtes betegségben a vörösvértestek sarló alakúvá válnak, amikor a rendellenes hemoglobin oxigént ad le, majd összetapad és merev láncokat képez, amelyek a sejtek alakváltozását és gyorsabb lebomlását okozzák. Ez a vérerek esetleges elzáródása mellett a vörösvértestek számának

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



csökkenéséhez és a szervezetben oxigént szállítani képes működő hemoglobin mennyiségének csökkenéséhez vezet. Az Oxbryta hatóanyaga, a voxelotor azáltal fejt ki hatását, hogy javítja a hemoglobin oxigénmegtartó képességét, és megakadályozza, hogy a hemoglobin láncokat alkosson. Ez segít a vörösvértestek normális alakjának és rugalmasságának megtartásában, csökkenti azok túlzott mértékű lebomlását és meghosszabbítja azok élettartamát.

Milyen előnyei voltak az Oxbryta alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az Oxbryta-ról egy 247, 12 és 64 év közötti, sarlósejtes betegségben szenvedő beteg bevonásával végzett fő vizsgálatban igazolták, hogy csökkenti a hemolitikus anémiát. A betegek Oxbryta-t vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelést) kaptak, illetve, ha már részesültek hidroxikarbamid-kezelésben, folytathatták azt. A kezelés kezdetén a vérben mért átlagos hemoglobinszint 8,5 g/dl volt. 24 hetes kezelést követően a napi 150 mg Oxbryta-t kapó csoport körülbelül 51%-ánál (90 betegből 46-nál) a hemoglobinszint legalább 1 g/dl-rel javult, szemben a placebót szedő betegek 6,5%-ával (92 betegből 6-nál). Egyéb mérések szintén a vörösvértestek lebomlásának csökkenését mutatták az Oxbryta alkalmazása esetén.

Milyen kockázatokkal jár az Oxbryta alkalmazása?

Az Oxbryta leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fejfájás, a hasmenés és a hasi fájdalom. A legsúlyosabb mellékhatások, amelyek 100 beteg közül körülbelül 1-nél jelentkeznek, a fejfájás és a túlérzékenységi (allergiás) reakciók.

Az Oxbryta alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték az Oxbryta forgalomba hozatalát az EU-ban?

A sarlósejtes betegség jelenlegi kezelése már magában foglal olyan gyógyszereket, amelyekkel megelőzhető a fájdalmas krízisek, amikor a sarlósejtek elzárják a létfontosságú szervek vérellátását. Orvosi szempontból azonban megoldatlan szükség mutatkozik a betegséggel járó vérszegénység kezelésére, ami fáradtsághoz és krónikus fájdalomhoz, valamint egyéb szövődményekhez vezet. Az Oxbryta a hemoglobinszint növelésével és a vörösvértestek lebomlásának csökkentésével igazoltan enyhíti a vérszegénységet. Egyelőre nem világos, hogy ez milyen mértékben javítja a klinikai tüneteket és az életminőséget hosszabb távon, mivel a gyógyszer hatása csökkentheti a hemoglobin arra való képességét is, hogy oxigént juttasson a szervezet szöveteibe. Mindazonáltal, mivel a mellékhatások korlátozottak és kezelhetőnek tűnnek, az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Oxbryta alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Oxbryta biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Oxbryta biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Oxbryta alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat - hasonlóan minden más gyógyszerhez - folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Oxbryta alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Oxbryta-val kapcsolatos egyéb információ

Az Oxbryta-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta.