



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Oxbryta (*voxelotor*)

Sintesi di Oxbryta e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Oxbryta e per cosa si usa?

Oxbryta è un medicinale usato per trattare l'anemia emolitica (eccessiva degradazione dei globuli rossi) in pazienti di età pari o superiore a 12 anni affetti dalla malattia a cellule falciformi. Oxbryta può essere somministrato da solo o in associazione a un altro medicinale per la malattia a cellule falciformi denominato idrossicarbamide.

La malattia a cellule falciformi è una malattia genetica in cui i soggetti producono una forma anomala di emoglobina (la proteina presente nei globuli rossi che trasporta l'ossigeno). I globuli rossi diventano rigidi e viscosi e da una forma a disco assumono una forma di mezzaluna (tipo falce). La malattia a cellule falciformi è rara e Oxbryta è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 18 novembre 2016. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web:

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

Oxbryta contiene il principio attivo voxelotor.

Come si usa Oxbryta?

Oxbryta può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato da un medico esperto nel trattamento della malattia a cellule falciformi.

Il medicinale è disponibile sotto forma di compresse da assumere per bocca e la dose generalmente raccomandata è di 1 500 mg una volta al giorno.

Per maggiori informazioni sull'uso di Oxbryta, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Oxbryta?

Nella malattia a cellule falciformi, la falcizzazione dei globuli rossi avviene quando l'emoglobina anomala rilascia ossigeno e, successivamente, si accumula per formare catene rigide che conferiscono alle cellule una forma diversa inducendo queste ultime a degradarsi più rapidamente. Oltre a bloccare potenzialmente i vasi sanguigni, ciò comporta un numero ridotto di globuli rossi e una minore capacità dell'emoglobina di trasportare l'ossigeno nell'organismo. Il principio attivo di Oxbryta, voxelotor, agisce

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



migliorando la capacità dell'emoglobina di trattenere l'ossigeno e impedendole di formare catene. Questo aiuta i globuli rossi a mantenere una forma e una flessibilità normali, riducendone l'eccessiva degradazione e prolungandone la durata di vita.

Quali benefici di Oxbryta sono stati evidenziati negli studi?

Oxbryta ha mostrato di alleviare l'anemia emolitica in uno studio principale su 247 pazienti di età compresa tra i 12 e i 64 anni affetti dalla malattia a cellule falciformi. Ai pazienti è stato somministrato Oxbryta o placebo (un trattamento fittizio) proseguendo il trattamento con idrossicarbamide per coloro che vi erano sottoposti. All'inizio del trattamento, il livello medio di emoglobina era di 8,5 g per dL di sangue. Dopo 24 settimane di trattamento, il livello di emoglobina era aumentato di almeno 1 g per dL nel 51 % circa del gruppo (46 pazienti su 90) al quale era stato somministrato Oxbryta 1 500 mg al giorno rispetto al 6,5 % (6 su 92) di coloro che avevano assunto placebo. Anche altri parametri hanno mostrato una minore degradazione dei globuli rossi con Oxbryta.

Quali sono i rischi associati a Oxbryta?

Gli effetti indesiderati più comuni di Oxbryta (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono cefalea, diarrea e dolore addominale. Gli effetti indesiderati più gravi, che riguardano circa 1 persona su 100, comprendono cefalea e reazioni di ipersensibilità (allergiche).

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Oxbryta, vedere il foglio illustrativo.

Perché Oxbryta è autorizzato nell'UE?

Gli attuali trattamenti per la malattia a cellule falciformi includono già medicinali per la prevenzione delle crisi dolorose causate dalle cellule falciformi che bloccano l'afflusso di sangue agli organi vitali. Tuttavia, vi è una necessità medica insoddisfatta di trattamenti per gestire l'anemia associata all'affezione, che induce stanchezza e dolore cronico, oltre a favorire altre complicanze. È emerso che Oxbryta riduce l'anemia aumentando i livelli di emoglobina e attenuando la degradazione dei globuli rossi. Non è ancora chiaro in che misura ciò allevierà i sintomi clinici e migliorerà la qualità della vita nel lungo termine, poiché l'azione del medicinale può anche ridurre la capacità dell'emoglobina di rilasciare ossigeno nei tessuti dell'organismo. Ciononostante, poiché gli effetti indesiderati sembrano essere limitati e gestibili, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Oxbryta sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Oxbryta?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Oxbryta sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Oxbryta sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Oxbryta sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Oxbryta

Ulteriori informazioni su Oxbryta sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

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