



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Oxbryta (*vokselotoras*)

Oxbryta apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Oxbryta ir kam jis vartojamas?

Oxbryta – tai vaistas, kuriuo gydoma pjautuvine mažakraujyste sergantiems 12 metų ir vyresniems pacientams diagnozuota hemolizinė anemija (pernelyg didelis raudonųjų kraujo ląstelių irimas). Oxbryta galima vartoti vieną arba kartu su kitu vaistu nuo pjautuvinės mažakraujystės – hidroksikarbamidu.

Pjautuvinė mažakraujystė yra genetinė liga, kuria sergančių žmonių organizme gaminamas pakitusios formos hemoglobinas (raudonosios kraujo ląstelėse esantis baltymas, kuris perneša deguonį). Raudonosios kraujo ląstelės tampa standžios, lipnios ir nebe disko, o pjautuvo formos. Pjautuvinė mažakraujystė laikoma reta liga, todėl 2016 m. lapkričio 18 d. Oxbryta buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia:

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

Oxbryta sudėtyje yra veikliosios medžiagos vokselotora.

Kaip vartoti Oxbryta?

Oxbryta galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą šiuo vaistu turi pradėti gydytojas, turintis pjautuvinės mažakraujystės gydymo patirties.

Vaistas tiekiamas geriamųjų tablečių forma. Įprastinė rekomenduojama dozė yra 1 500 mg kartą per parą.

Daugiau informacijos apie Oxbryta vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Oxbryta?

Sergant pjautuvine mažakraujyste, raudonosios kraujo ląstelės tampa pjautuvo formos, kai pakitęs hemoglobinas išskiria deguonį, sulimpa ir sudaro standžias grandines, dėl kurių ląstelės pakeičia formą ir greičiau suyra. Dėl to gali užsikimšti kraujagyslės, be to, sumažėja raudonųjų kraujo ląstelių kiekis ir hemoglobino, kuris gali išnešioti deguonį po organizmą, kiekis. Oxbryta veiklioji medžiaga vokselotoras pagerina hemoglobino gebėjimą sulaikyti deguonį ir neleidžia jam sudaryti grandinių. Tai padeda

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



raudonosioms kraujo ląstelėms išlikti įprastos formos, išsaugoti elastingumą, nes sumažina per didelį jų irimą ir pailgina gyvavimo ciklą.

Kokia Oxbryta nauda nustatyta tyrimų metu?

Atlikus pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 247 pjautuvine mažakraujyste sergantys 12–64 metų pacientai, nustatyta, kad Oxbryta palengvina hemolizinę anemiją. Pacientams buvo skiriamas Oxbryta arba placebo (preparatas be veikliosios medžiagos), taip pat buvo tęsiamas gydymas hidroksikarbamidu, jeigu jie jau buvo šiuo vaistu gydomi. Gydymo pradžioje vidutinis hemoglobino kiekis kraujyje buvo 8,5 g/dl. Po 24 gydymo savaitių hemoglobino koncentracija padidėjo bent 1 g/dl maždaug 51 proc. (46 iš 90) 1 500 mg per parą Oxbryta dozę vartojusių pacientų ir 6,5 proc. (6 iš 92) placebo vartojusių pacientų. Kitomis priemonėmis taip pat nustatyta, kad vartojant Oxbryta raudonųjų kraujo ląstelių irimas sulėtėjo.

Kokia rizika susijusi su Oxbryta vartojimu?

Dažniausias Oxbryta šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra galvos skausmas, viduriavimas ir pilvo skausmas. Sunkiausias šalutinis poveikis, pasireiškiantis maždaug 1 žmogui iš 100, yra galvos skausmas ir padidėjusio jautrumo (alerginės) reakcijos.

Išsamų visų šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų vartojant Oxbryta sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Oxbryta buvo registruotas ES?

Šiuo metu pjautuvinė anemija gydoma vaistais, kurie padeda išvengti skausmingų krizių, pasireiškiančių pjautuvinėms ląstelėms blokuojant gyvybiškai svarbių organų aprūpinimą krauju. Vis dėlto išlieka nepatenkintas medicininis gydymo, kuris padėtų valdyti su šia liga susijusią anemiją, dėl kurios pasireiškia nuovargis ir lėtinis skausmas, kitos komplikacijos, poreikis. Nustatyta, kad Oxbryta palengvina anemiją, padidindamas hemoglobino kiekį ir sumažindamas raudonųjų ląstelių irimą. Dar neaišku, kiek dėl to ilginiui palengvės klinikiniai simptomai ir pagerės gyvenimo kokybė, nes dėl vaisto poveikio taip pat gali sumažėti hemoglobino gebėjimas išskirti deguonį į kūno audinius. Vis dėlto, kadangi atrodo, kad šio vaisto šalutinis poveikis yra nedidelis ir jį galima kontroliuoti, Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Oxbryta nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruojamas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Oxbryta vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Oxbryta vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Oxbryta vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Oxbryta šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Oxbryta

Daugiau informacijos apie Oxbryta rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta.