



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Oxbryta (*voxelotor*)

Oxbryta pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir Oxbryta un kāpēc tās lieto?

Oxbryta ir zāles, ko lieto hemolītiskas anēmijas (pārmērīgas sarkano asins šūnu noārdīšanās) ārstēšanai pacientiem no 12 gadu vecuma, kuriem ir sirpjveida šūnu slimība. Oxbryta var lietot vienas pašas vai kopā ar citām zālēm sirpjveida šūnu slimības ārstēšanai, ko sauc par hidroksikarbamīdu.

Sirpjveida šūnu slimība ir ģenētiska slimība, kuras gadījumā indivīdi producē patoloģisku hemoglobīna formu (sarkano asins šūnu proteīnu, kas piegādā skābekli). Sarkanās asins šūnas kļūst stīvas un lipīgas un maina savu formu no diskveida uz pusloku (kā sirpis). Sirpjveida šūnu slimība ir reta slimība, un 2016. gada 18. novembrī Oxbryta tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par reti slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769.

Oxbryta satur aktīvo vielu *voxelotor*.

Kā lieto Oxbryta?

Oxbryta var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāuzsāk sirpjveida šūnu slimības ārstēšanā pieredzējušam ārstam.

Zāles ir pieejamas iekšķīgi lietojamu tablešu veidā, un parastā ieteicamā deva ir 1500 mg vienreiz dienā.

Papildu informāciju par Oxbryta lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā Oxbryta darbojas?

Sirpjveida šūnu slimības gadījumā sirpjveida šūnu slimība rodas, kad patoloģiskais hemoglobīns atbrīvo skābekli, pēc tam salīp kopā, veidojot cietas ķēdes, kas liek šūnām mainīties, un izraisa to ātrāku sadalīšanos. Tas ne tikai potenciāli bloķē asinsvadus, bet arī samazina sarkano asins šūnu skaitu un samazina hemoglobīna daudzumu, kas spēj pārnest skābekli organismā. Oxbryta aktīvā viela *voxelotor* darbojas, uzlabojot hemoglobīna spēju piesaistīt skābekli, novēršot tā ķēžu veidošanos. Tas palīdz sarkanajām asins šūnām saglabāt normālu formu un elastību, samazinot to pārmērīgo sadalīšanos un uzlabojot dzīves ilgumu.

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



Kādi Oxbryta ieguvumi atklāti pētījumos?

Pamatpētījumā, kurā piedalījās 247 pacienti vecumā no 12 līdz 64 gadiem ar sirpjveida šūnu slimību, tika pierādīts, ka Oxbryta uzlabo hemolītisko anēmiju. Pacienti saņēma Oxbryta vai placebo (fiktīvu ārstēšanu), kā arī turpināja ārstēšanu ar hidroksikarbamīdu, ja viņi to jau bija saņēmuši. Ārstēšanas sākumā vidējais hemoglobīna līmenis asinīs bija 8,5 g/dl. Pēc 24 nedēļu ilgas ārstēšanas hemoglobīna līmenis bija uzlabojies par vismaz 1 g/dl aptuveni 51 % pacientu grupā, kuri lietoja Oxbryta 1500 mg dienā (46 no 90 pacientiem), salīdzinot ar 6,5 % pacientu grupā, kuri lietoja placebo (6 no 92 pacientiem). Citi pasākumi arī liecināja par sarkano asins šūnu sabrukšanas samazināšanos, lietojot Oxbryta.

Kāds risks pastāv, lietojot Oxbryta?

Visbiežākās Oxbryta blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir galvassāpes, caureja un sāpes vēderā. Visnopietnākās blakusparādības, kas rodas apmēram 1 no 100 cilvēkiem, ir galvassāpes un paaugstinātas jutības (alerģiskas) reakcijas.

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot Oxbryta, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc Oxbryta ir reģistrētas ES?

Pašreizējās sirpjveida šūnu slimības ārstēšanas metodes jau ietver zāles, kas novērš sāpīgas krīzes, kuras rodas, sirpjveida šūnām bloķējot asins piegādi dzīvībai svarīgiem orgāniem. Tomēr pastāv neapmierināta medicīniska vajadzība pēc ārstēšanas, lai kontrolētu ar slimību saistīto anēmiju, kas izraisa nogurumu un hroniskas sāpes, kā arī veicina citas komplikācijas. Ir pierādīts, ka Oxbryta uzlabo anēmiju, palielinot hemoglobīna līmeni un samazinot sarkano asins šūnu sabrukšanu. Vēl nav skaidrs, kādā mērā tas ilgtermiņā uzlabos klīniskos simptomus un dzīves kvalitāti, jo zāļu iedarbība var arī samazināt hemoglobīna spēju atbrīvot skābekli organisma audos. Tomēr, tā kā blakusparādības šķiet ierobežotas un kontrolējamas, Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot Oxbryta, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu Oxbryta lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu Oxbryta lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par Oxbryta lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar Oxbryta lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par Oxbryta

Sīkāka informācija par Oxbryta ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

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