



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Oxbryta (*voxelotor*)

Een overzicht van Oxbryta en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Oxbryta en wanneer wordt het voorgeschreven?

Oxbryta is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van hemolytische anemie (overmatige afbraak van rode bloedcellen) bij patiënten van 12 jaar en ouder met sikkelcelziekte. Oxbryta kan als monotherapie worden gebruikt of worden gecombineerd met een ander geneesmiddel voor sikkelcelziekte, hydroxycarbamide.

Sikkelcelziekte is een genetische aandoening waarbij personen hemoglobine (het eiwit in rode bloedcellen dat zuurstof vervoert) met een afwijkende vorm aanmaken. De rode bloedcellen worden stijf en plakkerig en veranderen van schijfjes in halvemaanvormige cellen (die lijken op sikkels). Sikkelcelziekte is zeldzaam, en Oxbryta werd op 18 november 2016 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769.

Oxbryta bevat de werkzame stof voxelotor.

Hoe wordt Oxbryta gebruikt?

Oxbryta is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door een arts die ervaring heeft met de behandeling van sikkelcelziekte.

Het geneesmiddel is beschikbaar in de vorm van tabletten voor inname via de mond en de gebruikelijke aanbevolen dosis is 1 500 mg eenmaal daags.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Oxbryta.

Hoe werkt Oxbryta?

Bij sikkelcelziekte treedt sikkeling van de rode bloedcellen op wanneer de afwijkende hemoglobine zuurstof afgeeft en vervolgens samenklontert tot stijve ketens, waardoor de cellen van vorm veranderen en sneller worden afgebroken. Dit kan niet alleen verstopte bloedvaten veroorzaken, maar ook leiden tot een lager aantal rode bloedcellen en minder werkende hemoglobine om zuurstof door het lichaam te vervoeren. De werkzame stof in Oxbryta, voxelotor, zorgt ervoor dat hemoglobine beter

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



zuurstof kan vasthouden en er geen ketens kunnen ontstaan. Dit helpt de rode bloedcellen hun normale vorm en flexibiliteit te behouden, waardoor ze minder overmatig worden afgebroken en langer blijven bestaan.

Welke voordelen bleek Oxbryta tijdens de studies te hebben?

In een hoofdonderzoek onder 247 sikkelcelpatiënten tussen 12 en 64 jaar bleek Oxbryta de hemolytische anemie te verbeteren. De patiënten kregen Oxbryta of placebo (een schijnbehandeling) toegediend en bleven hydroxycarbamide nemen als ze daar al mee werden behandeld. Aan het begin van de behandeling was het gemiddelde hemoglobinegehalte 8,5 g per dl bloed. Na 24 weken behandeling was de hemoglobinespiegel met ten minste 1 g per dl verbeterd bij ongeveer 51 % van de patiënten die 1 500 mg Oxbryta per dag kregen (46 van de 90 personen), tegenover 6,5 % van de patiënten die placebo kregen (6 van de 92 personen). Bij andere doseringen van Oxbryta werd ook een afname van de afbraak van rode bloedcellen waargenomen.

Welke risico's houdt het gebruik van Oxbryta in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Oxbryta (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn hoofdpijn, diarree en buikpijn. De ernstigste bijwerkingen (die bij ongeveer 1 op de 100 personen kunnen optreden) zijn onder meer hoofdpijn en overgevoeligheid (allergische reacties).

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor het gebruik van Oxbryta.

Waarom is Oxbryta geregistreerd in de EU?

De bestaande behandelingen voor sikkelcelziekte omvatten al geneesmiddelen ter voorkoming van de pijnlijke crises die zich voordoen wanneer sikkelcellen de bloedtoevoer naar vitale organen blokkeren. Er bestaat echter een onvervulde medische behoefte aan behandelingen voor de anemie waarmee de aandoening gepaard gaat, die leidt tot vermoeidheid en chronische pijn en die ook bijdraagt aan andere complicaties. Er is aangetoond dat Oxbryta anemie tegengaat door de hemoglobinespiegel te verhogen en de afbraak van rode bloedcellen te verminderen. Het is nog niet duidelijk in welke mate dit de klinische symptomen en de levenskwaliteit van patiënten op de langere termijn zal verbeteren, omdat de werking van het geneesmiddel ook het vermogen van hemoglobine om zuurstof aan de lichaamswefsels af te geven kan verminderen. Aangezien de bijwerkingen beperkt en beheersbaar lijken, heeft het Europees Geneesmiddelenbureau echter geconcludeerd dat de voordelen van Oxbryta groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Oxbryta te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Oxbryta, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Oxbryta continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Oxbryta worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Oxbryta

Meer informatie over Oxbryta is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta.