



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Oxbryta (*voxelotor*)

Um resumo sobre Oxbryta e porque está autorizado na UE

O que é Oxbryta e para que é utilizado?

Oxbryta é um medicamento utilizado no tratamento da anemia hemolítica (degradação excessiva dos glóbulos vermelhos) em doentes com idade igual ou superior a 12 anos que sofrem de doença falciforme. Oxbryta pode ser administrado em monoterapia (medicamento único) ou em associação com outro medicamento para a doença falciforme denominado hidroxycarbamida.

A doença falciforme é uma doença genética em que os indivíduos produzem uma forma anormal de hemoglobina (a proteína nos glóbulos vermelhos que transporta oxigénio). Os glóbulos vermelhos tornam-se rígidos e pegajosos, deixando de ser em forma de disco para passarem a ser em forma de crescente (como uma foice). A doença falciforme é rara, e Oxbryta foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 18 de novembro de 2016. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui:

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

Oxbryta contém a substância ativa voxelotor.

Como se utiliza Oxbryta?

Oxbryta só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado por um médico com experiência no tratamento da doença falciforme.

O medicamento está disponível na forma de comprimidos a tomar por via oral e a dose habitual recomendada é de 1500 mg uma vez por dia.

Para mais informações sobre a utilização de Oxbryta, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Oxbryta?

Na doença falciforme, os glóbulos vermelhos tornam-se falciformes quando a hemoglobina anormal liberta o oxigénio e depois se coliga para formar cadeias rígidas que fazem com que as células mudem de forma e as levam a decompor-se mais rapidamente. Além de poder bloquear os vasos sanguíneos, isto reduz o número de glóbulos vermelhos e a quantidade de hemoglobina funcional capaz de transportar oxigénio ao organismo. A substância ativa de Oxbryta, o voxelotor, atua melhorando a

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



capacidade da hemoglobina para reter o oxigénio e impedindo-o de formar cadeias. Isto ajuda os glóbulos vermelhos a manter a forma e a flexibilidade normais, reduzindo o excesso de degradação e prolongando a sua vida útil.

Quais os benefícios demonstrados por Oxbryta durante os estudos?

Oxbryta demonstrou melhorar a anemia hemolítica num estudo principal que incluiu 247 doentes com idades compreendidas entre os 12 e os 64 anos com doença falciforme. Os doentes receberam Oxbryta ou um placebo (um tratamento simulado), bem como tratamento continuado com hidroxycarbamida, caso já estivessem a recebê-lo. No início do tratamento, o nível médio de hemoglobina era de 8,5 g por dL de sangue. Após 24 semanas de tratamento, o nível de hemoglobina melhorou em, pelo menos, 1 g por dL em cerca de 51 % do grupo que recebeu Oxbryta 1500 mg por dia (46 em 90 doentes) versus 6,5 % dos que receberam o placebo (6 em 92). Outras medidas também demonstraram reduções da degradação dos glóbulos vermelhos com Oxbryta.

Quais são os riscos associados a Oxbryta?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Oxbryta (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são dores de cabeça, diarreia e dor abdominal (de barriga). Os efeitos secundários mais graves, que afetam cerca de 1 em cada 100 pessoas, incluem dor de cabeça e reações de hipersensibilidade (alérgicas).

Para a lista completa de restrições de utilização e de efeitos secundários comunicados relativamente a Oxbryta, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Oxbryta autorizado na UE?

Os tratamentos atuais para a doença falciforme já incluem medicamentos para prevenir as crises dolorosas causadas pelo bloqueio das células falciformes no fornecimento de sangue a órgãos vitais. No entanto, existe uma necessidade médica não satisfeita de tratamentos para a anemia associada à doença, que provoca cansaço e dor crónica, contribuindo também para outras complicações. Oxbryta demonstrou melhorar a anemia através do aumento dos níveis de hemoglobina e da redução da degradação dos glóbulos vermelhos. Ainda não é claro até que ponto isto irá melhorar os sintomas clínicos e a qualidade de vida a longo prazo, uma vez que a ação do medicamento pode também reduzir a capacidade da hemoglobina de libertar oxigénio nos tecidos do organismo. No entanto, uma vez que os efeitos secundários parecem ser limitados e controláveis, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Oxbryta são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Oxbryta?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Oxbryta.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Oxbryta são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Oxbryta são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Oxbryta

Mais informações sobre Oxbryta podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta.