



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Oxbryta (*voxelotor*)

Prehľad o lieku Oxbryta a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Oxbryta a na čo sa používa?

Oxbryta je liek, ktorý sa používa na liečbu hemolytickej anémie (nadmerného rozpadu červených krviniek) u pacientov vo veku od 12 rokov, ktorí majú kosáčikovú anémiu. Liek Oxbryta sa môže podávať samostatne alebo spolu s iným liekom na kosáčikovú anémiu, ktorý sa nazýva hydroxykarbamid.

Kosáčikovitá anémia je genetické ochorenie, pri ktorom sa u jednotlivcov vytvára abnormálna forma hemoglobínu (proteínu v červených krvinkách, ktorý prenáša kyslík). Červené krvinky sa stávajú tuhé a lepkavé a ich tvar sa mení z okrúhleho na mesiačikovitý (ako kosáčik). Kosáčikovitá anémia je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Oxbryta 18. novembra 2016 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769.

Liek Oxbryta obsahuje liečivo voxelotor.

Ako sa liek Oxbryta užíva?

Výdaj lieku Oxbryta je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou kosáčikovitej anémie.

Liek je k dispozícii vo forme tabliet, ktoré sa užívajú ústami, a zvyčajná odporúčaná dávka je 1 500 mg užívaná raz denne.

Viac informácií o používaní lieku Oxbryta si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnik.

Akým spôsobom liek Oxbryta účinkuje?

Pri kosáčikovitej anémii dochádza k tvorbe kosáčikovitého tvaru červených krviniek, keď abnormálny hemoglobín uvoľňuje kyslík, a potom sa zhlukuje, aby sa vytvorili pevné reťazce, ktoré spôsobujú, že bunky menia tvar a rýchlejšie sa rozkladajú. Okrem potenciálneho blokovania krvných ciev to vedie k nižšiemu počtu červených krviniek a nižšiemu obsahu hemoglobínu, ktorý dokáže prenášať kyslík v tele. Liečivo lieku Oxbryta, voxelotor, účinkuje tak, že zlepšuje schopnosť hemoglobínu viazať kyslík 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



bráni mu vo vytváraní reťazcov. To pomáha červeným krvinkám udržať normálny tvar a pružnosť, čím sa zníži ich nadmerné odbúravanie a zlepši sa ich životnosť.

Aké prínosy lieku Oxbryta boli preukázané v štúdiách?

V hlavnej štúdii zahŕňajúcej 247 pacientov vo veku od 12 do 64 rokov s kosáčikovitou anémiou sa preukázalo, že liek Oxbryta zmierňuje hemolytickú anémiu. Pacientom sa podával liek Oxbryta alebo placebo (zdanlivý liek) a tiež pokračovala liečba hydroxykarbamidom, ak ju už predtým dostávali. Na začiatku liečby bola priemerná hladina hemoglobínu 8,5 g na dl krvi. Po 24 týždňoch liečby sa hladina hemoglobínu zlepšila najmenej o 1 g na dl u približne 51 % osôb zo skupiny, ktorá dostávala liek Oxbryta v dávke 1 500 mg denne (46 z 90 pacientov) v porovnaní so 6,5 % pacientov, ktorí dostávali placebo (6 z 92 pacientov). Ďalšie opatrenia takisto preukázali zníženie rozpadu červených krviniek s liekom Oxbryta.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Oxbryta?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Oxbryta (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú bolesť hlavy, hnačka a abdominálna bolesť (bolesť brucha). Najzávažnejšie vedľajšie účinky, ktoré postihujú približne 1 osobu zo 100, sú bolesť hlavy a reakcie z precitlivenosti (alergické reakcie).

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Oxbryta a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Oxbryta povolený v EÚ?

Súčasná liečba kosáčikovitej anémie už zahŕňa lieky na prevenciu bolestivých kríz spôsobených kosáčikovitou anémiou pri blokovaní zásob krvi životne dôležitým orgánom. Existuje však nenaplnená lekárska potreba liečby na zvládnutie anémie spojenej s týmto ochorením, čo vedie k únave a chronickej bolesti, ako aj k ďalším komplikáciám. Preukázalo sa, že liek Oxbryta zlepšuje anémiu zvýšením hladiny hemoglobínu a znížením rozpadu červených krviniek. Zatiaľ nie je jasné, do akej miery to zlepši klinické príznaky a kvalitu života z dlhodobého hľadiska, keďže účinok lieku môže tiež znížiť schopnosť hemoglobínu uvoľňovať kyslík do tkanív tela. Keďže sa zdá, že vedľajšie účinky sú obmedzené a kontrolovateľné, Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Oxbryta sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Oxbryta?

Na bezpečné a účinné užívanie lieku Oxbryta boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Oxbryta sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Oxbryta sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Oxbryta

Ďalšie informácie o lieku Oxbryta sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

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