



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/244342/2019  
EMA/H/C/004837

## Xromi (*Hydroxycarbamid*)

Übersicht über Xromi und warum es in der EU zugelassen ist

### Was ist Xromi und wofür wird es angewendet?

Xromi ist ein Arzneimittel, das bei Erwachsenen, Jugendlichen und Kindern im Alter von über zwei Jahren angewendet wird, die an Sichelzellanämie leiden, einer genetischen Erkrankung, bei der die roten Blutkörperchen starr und klebrig werden und ihre Form von scheibenförmig in gebogen (wie eine Sichel) ändern. Xromi wird angewendet, um sogenannten vaso-okklusiven Komplikationen vorzubeugen – Probleme, die auftreten, wenn Blutgefäße durch anomale rote Blutkörperchen blockiert werden, wodurch der Blutfluss in Teile des Körpers eingeschränkt wird.

Xromi ist ein „Hybrid-Arzneimittel“. Dies bedeutet, dass es einem „Referenzarzneimittel“ ähnlich ist, das denselben Wirkstoff enthält, aber als Flüssigkeit zum Einnehmen anstatt als Kapseln angewendet wird und für unterschiedliche Verwendungszwecke zugelassen ist. Das Referenzarzneimittel für Xromi ist Hydrea.

Der Wirkstoff in Xromi ist Hydroxycarbamid.

### Wie wird Xromi angewendet?

Xromi ist als Flüssigkeit zum Einnehmen erhältlich, die Hydroxycarbamid 100 mg/ml enthält, und die Dosis richtet sich nach dem Körpergewicht des Patienten. Zu Beginn erhalten die Patienten in der Regel eine tägliche Dosis von 15 mg pro Kilogramm Körpergewicht, die erforderlichenfalls alle 8 Wochen auf höchstens 35 mg pro Kilogramm erhöht wird. Das Arzneimittel wird mit zwei oralen Spritzen zur Abmessung der Dosis geliefert, einer kleineren roten zur Abmessung von Dosen bis zu insgesamt 300 mg (3 ml Flüssigkeit) und einer größeren weißen zur Anwendung bei größeren Dosen. Die Patienten sollten nach einer Dosis Xromi Wasser trinken, damit die vollständige Dosis den Magen erreicht.

Xromi ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Therapie muss von einem Angehörigen der Heilberufe überwacht werden, der Erfahrung mit der Behandlung von Patienten mit Sichelzellanämie hat. Weitere Informationen zur Anwendung von Xromi entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Wie wirkt Xromi?

Der Wirkstoff in Xromi, Hydroxycarbamid, hemmt das Wachstum und die Reproduktion einiger Zellen, z. B. von Blutzellen. Auch wenn die Wirkweise von Hydroxycarbamid bei dieser Erkrankung nicht abschließend geklärt ist, kann es die Anzahl der Zellen, die im Blut zirkulieren, verringern und bei Patienten mit Sichelzellanämie verhindern, dass sich die roten Blutkörperchen verformen. Dadurch wird das Risiko verringert, dass Blutgefäße blockiert werden.

Hydroxycarbamid, das früher als Hydroxyharnstoff bezeichnet wurde, wird seit vielen Jahren zur Behandlung der Sichelzellanämie eingesetzt und ist in den EU-Ländern seit mehreren Jahrzehnten als Hydreia zur Behandlung bestimmter Krebsarten zugelassen.

## Welchen Nutzen hat Xromi in den Studien gezeigt?

Da Hydroxycarbamid ein etablierter Stoff ist, der seit vielen Jahren in der EU verwendet wird, legte das Unternehmen Informationen aus der veröffentlichten Literatur zum Nutzen und zu den Risiken von Hydroxycarbamid in seinen genehmigten Anwendungsgebieten vor. Dazu gehörten Informationen aus 4 Hauptstudien in Bezug auf Sichelzellanämie, darunter 3 Studien mit 384 Erwachsenen und Kindern, in denen gezeigt wurde, dass Hydroxycarbamid das Risiko schwerer, schmerzhafter Blockaden der Blutversorgung (sogenannte vaso-okklusive Krisen) im Vergleich zu einer Scheinbehandlung deutlich verringerte, und eine vierte Studie mit 121 Kindern, in der sich Hydroxycarbamid zur Verringerung von Blutgefäßschäden im Gehirn und des Risikos eines Schlaganfalls als mindestens ebenso wirksam erwies wie die Standardbehandlung mit Bluttransfusionen.

Das Unternehmen legte ferner Informationen aus verschiedenen unterstützenden Studien vor. Wie bei jedem Arzneimittel gehörten dazu auch Studien, die zeigten, dass das Arzneimittel von annehmbarer Qualität war. Es führte zudem eine Studie durch, die ergab, dass Xromi mit dem Referenzarzneimittel Hydreia bioäquivalent ist. Zwei Arzneimittel sind bioäquivalent, wenn sie im Körper zu denselben Wirkstoffkonzentrationen führen.

## Welche Risiken sind mit Xromi verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Xromi (die mehr als 1 von 10 Personen betreffen können) sind Knochenmarksdepression (verminderte Fähigkeit zur Produktion von Blutzellen) und verminderte Fruchtbarkeit bei Männern aufgrund von Oligospermie (geringe Spermienzahl) oder Azoospermie (Fehlen von Spermien). Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Xromi berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Xromi darf nicht bei Personen angewendet werden, die schwere Nieren- oder Leberprobleme oder eine gefährlich niedrige Anzahl von Blutkörperchen haben. Es darf nicht während der Schwangerschaft angewendet werden, und das Stillen muss während der Einnahme des Arzneimittels eingestellt werden. Xromi darf auch nicht bei Patienten angewendet werden, die Arzneimittel zur Behandlung einer HIV-Infektion einnehmen. Die vollständige Auflistung der Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

## Warum wurde Xromi in der EU zugelassen?

Das Unternehmen legte aktualisierte Informationen vor, die den Nutzen von Hydroxycarbamid bei der Vorbeugung von Komplikationen der Sichelzellanämie bei Patienten im Alter von über 2 Jahren zeigten. Die Sicherheitsprobleme im Zusammenhang mit Hydroxycarbamid sind gut erforscht, und es wurde der Nachweis erbracht, dass Xromi mit einem zugelassenen Hydroxycarbamid-Arzneimittel bioäquivalent

ist. Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Xromi gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

### **Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Xromi ergriffen?**

Das Unternehmen, das Xromi in Verkehr bringt, wird ein Aufklärungsprogramm für Ärzte und Patienten auflegen, das auf die ordnungsgemäße Anwendung des Arzneimittels und die Vermeidung von Schäden ausgerichtet ist, einschließlich einer Anleitung zur Verwendung der geeigneten Spritze zur Dosierung und zur Notwendigkeit einer regelmäßigen Blutuntersuchung.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Xromi, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Xromi kontinuierlich überwacht. Gemeldete Nebenwirkungen von Xromi werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

### **Weitere Informationen über Xromi**

Weitere Informationen über Xromi finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xromi](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xromi).