



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Xromi (*hydroxycarbamide*)

Aperçu de Xromi et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Xromi et dans quel cas est-il utilisé?

Xromi est un médicament utilisé chez les adultes, les adolescents et les enfants âgés de deux ans au moins atteints de drépanocytose, une maladie génétique dans laquelle les globules rouges deviennent rigides et collants et perdent leur forme de disque pour prendre celle d'un croissant (comme une faucille). Xromi est utilisé pour prévenir ce que l'on appelle les complications vaso-occlusives - des troubles qui surviennent lorsque les vaisseaux sanguins sont obstrués par les globules rouges anormaux, ce qui restreint la circulation sanguine vers des parties du corps.

Xromi est un «médicament hybride». Ceci signifie qu'il est similaire à un «médicament de référence» contenant la même substance active, mais il est administré sous forme liquide plutôt qu'en capsules et est autorisé pour différents usages. Le médicament de référence pour Xromi est Hydrea.

La substance active de Xromi est l'hydroxycarbamide.

Comment Xromi est-il utilisé?

Xromi est disponible sous la forme d'un liquide à avaler contenant de l'hydroxycarbamide 100 mg/mL, et le dosage est fonction du poids corporel du patient. Les patients se voient généralement administrer une dose journalière de 15 mg pour chaque kg de poids corporel, et celle-ci sera augmentée, si nécessaire, de huit en huit semaines, jusqu'à 35 mg par kg au maximum. Le médicament est fourni avec deux seringues à usage oral pour mesurer la dose, une petite de couleur rouge pour mesurer les doses jusqu'à 300 mg (3 mL de liquide), et une grande de couleur blanche à utiliser pour les doses plus importantes. Les patients doivent boire de l'eau après chaque dose de Xromi pour assurer que la dose complète atteigne l'estomac.

Xromi n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être supervisé par un professionnel de la santé expérimenté dans la prise en charge des patients atteints de drépanocytose. Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Xromi, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Xromi agit-il?

La substance active de Xromi, l'hydroxycarbamide, bloque la croissance et la reproduction de certaines cellules, telles que les cellules sanguines. Bien que la manière dont l'hydroxycarbamide fonctionne

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



dans cette maladie ne soit pas complètement élucidée, il peut réduire le nombre de cellules qui circulent dans le sang et peut également empêcher les globules rouges de changer de forme chez les patients atteints de drépanocytose. Ceci réduit le risque d'obstruction des vaisseaux sanguins.

L'hydroxycarbamide, anciennement connu sous le nom d'hydroxyurée, est utilisé depuis de nombreuses années pour traiter la drépanocytose et est autorisé dans les pays de l'UE depuis plusieurs décennies sous la dénomination Hydrea, un médicament utilisé pour combattre plusieurs types de cancer.

Quels sont les bénéfices de Xromi démontrés au cours des études?

L'hydroxycarbamide étant une substance bien établie utilisée depuis de nombreuses années dans l'UE, la société a fourni des informations issues de la littérature existante concernant les bénéfices et les risques de l'hydroxycarbamide dans ses usages autorisés. Il s'agissait d'informations provenant de 4 études principales concernant la drépanocytose, y compris 3 études portant sur 384 adultes et enfants chez lesquels il a été démontré que l'hydroxycarbamide réduisait substantiellement le risque d'obstructions aiguës et douloureuses de l'alimentation sanguine (dénommées crises vaso-occlusives) en comparaison avec un traitement fictif, et une quatrième étude portant sur 121 enfants qui a montré que l'hydroxycarbamide était au moins aussi efficace que le traitement standard recourant aux transfusions sanguines pour réduire l'endommagement des vaisseaux sanguins et le risque d'accident vasculaire cérébral.

La société a également fourni des informations provenant d'une série d'études de soutien. Comme pour chaque médicament, celles-ci incluaient des études montrant que le médicament était de qualité acceptable. Elle a également réalisé une étude qui a montré que Xromi est bioéquivalent au médicament de référence, Hydrea. Deux médicaments sont bioéquivalents lorsqu'ils produisent les mêmes niveaux de substance active dans le corps.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Xromi?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Xromi (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont une dégradation de la moelle osseuse (capacité réduite de production des cellules sanguines) et la baisse de la fécondité chez les hommes en raison de l'oligospermie (faible nombre de spermatozoïdes) ou de l'azoospermie (absence de spermatozoïdes). Pour une description complète des effets indésirables observés sous Xromi, voir la notice.

Xromi ne doit pas être utilisé chez les personnes qui présentent des troubles graves des reins ou du foie, ou dont le nombre de cellules sanguines est dangereusement bas. Il ne doit pas non plus être utilisé pendant la grossesse et l'allaitement doit être interrompu pendant le traitement. Xromi ne doit pas non plus être utilisé chez les patients prenant des médicaments pour le traitement de l'infection par le VIH. Pour une liste complète des restrictions, voir la notice.

Pourquoi Xromi est-il autorisé dans l'UE?

La société a fourni des informations actualisées présentant les bénéfices de l'hydroxycarbamide dans la prévention des complications de la drépanocytose chez les patients de plus de 2 ans. Les risques pour la sécurité sous hydroxycarbamide sont bien compris, et il a été montré que Xromi est bioéquivalent à un médicament autorisé à base d'hydroxycarbamide. Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Xromi sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Xromi?

La société qui commercialise Xromi mettra en place un programme éducatif pour les médecins et les patients concernant l'utilisation adéquate du médicament et pour prévenir tout dommage, y compris des orientations sur l'utilisation de la seringue appropriée pour le dosage et le besoin d'analyses sanguines régulières.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Xromi ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Xromi sont surveillées en permanence. Les effets secondaires rapportés avec Xromi sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Xromi:

Des informations sur Xromi sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xromi.