



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Xromi (*hidroxi-karbamid*)

A Xromi-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Xromi és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Xromi-t sarlósejtes betegségben szenvedő felnőtteknél, serdülőknél és két évesnél idősebb gyermekeknél alkalmazzák. A sarlósejtes betegség genetikai betegség, amelyben a vörösvérsejtek merevvé és ragadóssá válnak, és alakjuk korongról sarló formára változik. A Xromi-t az úgynevezett vazo-okkluzív szövődmények megelőzésére – amikor a véredek elzáródnak a rendellenes vörösvérsejtek miatt, ami akadályozza az egyes testrészek véráramlását – alkalmazzák.

A Xromi „hibrid gyógyszer”. Ez azt jelenti, hogy hasonló a „referencia gyógyszerhez” abban a tekintetben, hogy ugyanazt a hatóanyagot tartalmazza, de kapszula helyett belsőleges oldat formájában kell bevenni, és a jóváhagyott javallata is eltér. A Xromi referencia-gyógyszere a Hydrea.

A Xromi hatóanyaga a hidroxi-karbamid.

Hogyan kell alkalmazni a Xromi-t?

A Xromi belsőleges oldat formájában kapható. 100 mg/ml hidroxi-karbamidot tartalmaz, az adagolás pedig a beteg testtömegétől függ. A kezdő napi adag rendszerint testtömegkilogrammonként 15 mg, majd szükség esetén 8 hetente növelhető, legfeljebb 35 mg/ttkg-ra. Az adag kimérését elősegítendő a gyógyszerhez két darab adagolófecskendő mellékelnek: a kisebb, piros fecskendő a legfeljebb 300 mg-os adagok (3 ml oldat), a nagyobb, fehér fecskendő pedig az ennél nagyobb adagok kimérésére szolgál. A Xromi bevitelét követően vizet kell inni, hogy a teljes adag biztosan eljusson a gyomorba.

A Xromi csak receptre kapható, és a kezelést a sarlósejtes betegség kezelésében jártas egészségügyi szakembernek kell felügyelnie. A Xromi alkalmazásával kapcsolatos további információért olvassa el a betegájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Hogyan fejt ki hatását a Xromi?

A Xromi hatóanyaga, a hidroxi-karbamid, gátolja egyes sejtek, például a vérsejtek növekedését és szaporodását. Bár a hidroxi-karbamid e betegség esetén kifejtett hatásmechanizmusa nem teljesen

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



ismert, csökkentheti a vérben keringő sejtek számát, és a sarlósejtes betegségben szenvedő betegeknek megakadályozhatja a vörösvérsejtek alakjának megváltozását, ezáltal csökkenti a vérerek elzáródásának kockázatát.

A hidroxikarbamid – korábbi nevén hidroxürea – évek óta használatos a sarlósejtes betegség kezelésében, és az EU-tagállamokban Hydrea néven évtizedek óta engedélyezik egyes daganattípusok kezelésére.

Milyen előnyei voltak a Xromi alkalmazásának a vizsgálatok során?

Mivel a hidroxikarbamid jól ismert hatóanyag, amelyet évek óta alkalmaznak az Unióban, a vállalat a publikált szakirodalomból származó adatokat nyújtott be a hidroxikarbamid jóváhagyott javallatokban tapasztalt előnyeire és kockázataira vonatkozóan. Ez magában foglalta a sarlósejtes betegségre vonatkozó 4 fő vizsgálat adatait: ezek közül 3 vizsgálatba 384 felnőttet és gyermeket vontak be, akiknél a hatóanyag nélküli kezeléssel összehasonlítva a hidroxikarbamid igazoltan jelentős mértékben csökkentette a súlyos, fájdalmas érelzáródást (ún. vaso-okkluzív krízis). A negyedik vizsgálatba 121 gyermeket vontak be, akiknél a hidroxikarbamid igazoltan legalább annyira hatékonyan csökkentette az agyi erek károsodását és a stroke kialakulásának kockázatát, mint a vértömlesztést alkalmazó hagyományos kezelés.

A vállalat emellett különböző alátámasztó vizsgálatokból is nyújtott be adatokat, amelyek között, mint minden gyógyszer esetében, a gyógyszer elfogadható minőségét igazoló vizsgálatok is szerepeltek. A vállalat elvégzett egy további vizsgálatot is, amely igazolta a Xromi-nak a referencia-gyógyszerrel, a Hydrea-val való biológiai egyenértékűséget. Két gyógyszer akkor biológiailag egyenértékű, ha ugyanolyan hatóanyagszintet eredményeznek a szervezetben.

Milyen kockázatokkal jár a Xromi alkalmazása?

A Xromi leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a csontvelőszuppresszió (csökkent vörösvérsejttermelő képesség), és férfiaknál az oligospermia (alacsony spermaszám) vagy azozoospermia (a spermiumok hiánya) miatt kialakult csökkent fogamzóképeség. A Xromi alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Xromi nem alkalmazható súlyos vese- vagy májproblémák esetén, vagy ha a vörösvérsejtek száma veszélyesen alacsony. A gyógyszer nem alkalmazható terhesség esetén, a szoptatást pedig abba kell hagyni a gyógyszer szedése során. A Xromi a HIV-fertőzés kezelésére szolgáló gyógyszert szedő betegeknek sem alkalmazható. A korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Xromi forgalomba hozatalát az EU-ban?

A vállalat naprakész információkat nyújtott be a hidroxikarbamid alkalmazásának a sarlósejtes betegség megelőzésében 2 év fölötti betegeknek tapasztalt előnyeire vonatkozóan. A hidroxikarbamid biztonságosságával kapcsolatos kérdések jól ismertek, a Xromi pedig igazoltan biológiailag egyenértékű egy engedélyezett hidroxikarbamid tartalmú gyógyszerrel. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Xromi alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Xromi biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Xromi-t forgalmazó vállalat oktatóprogramot fog bevezetni a kezelőorvosok és a betegek számára a gyógyszer helyes alkalmazásáról és az ártalmak megelőzéséről. Ennek keretében útmutatást nyújtanak a helyes adagoláshoz használandó fecskendőkről és a rendszeres vérképellenőrzés szükségességéről is.

A Xromi biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Xromi alkalmazásával kapcsolatos információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. A Xromi alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Xromi-val kapcsolatos egyéb információ

A Xromi-ra vonatkozó további információ az Európai Gyógyszerügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xromi.