



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Xromi (*idrossicarbamide*)

Sintesi di Xromi e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Xromi e per cosa si usa?

Xromi è un medicinale usato negli adulti, negli adolescenti e nei bambini di età superiore ai due anni affetti da malattia a cellule falciformi, una malattia genetica in cui i globuli rossi diventano rigidi e viscosi e, da una forma a disco, assumono una forma di mezzaluna (tipo falce). Xromi è utilizzato per prevenire le cosiddette complicanze vaso-occlusive, che sorgono quando i globuli rossi anomali ostruiscono i vasi sanguigni, riducendo in tal modo il flusso sanguigno alle parti del corpo.

Xromi è un "medicinale ibrido". Ciò significa che è simile a un "medicinale di riferimento" che contiene lo stesso principio attivo, anche se è somministrato sotto forma di liquido da ingerire anziché in capsule ed è autorizzato per indicazioni diverse. Il medicinale di riferimento di Xromi è Hydrea.

Il principio attivo di Xromi è idrossicarbamide.

Come si usa Xromi?

Xromi è disponibile come liquido da ingerire contenente idrossicarbamide 100 mg/ml e le dosi dipendono dal peso corporeo del paziente. I pazienti ricevono generalmente una dose iniziale giornaliera di 15 mg per kg di peso corporeo e, se necessario, la dose è aumentata ogni 8 settimane fino a un massimo di 35 mg/kg. Il medicinale è fornito con due siringhe orali per la misurazione della dose: una siringa (rossa) più piccola per misurare le dosi fino a un totale di 300 mg (3 ml di liquido) e una siringa (bianca) più grande da usare per le dosi più elevate. I pazienti devono bere acqua dopo l'assunzione di Xromi affinché l'intera dose raggiunga lo stomaco.

Xromi può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere supervisionato da un operatore sanitario esperto nella cura dei pazienti affetti dalla malattia a cellule falciformi. Per maggiori informazioni sull'uso di Xromi, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Xromi?

Il principio attivo di Xromi, idrossicarbamide, blocca la crescita e la riproduzione di alcune cellule, come quelle ematiche. Sebbene il modo in cui agisce su questa malattia non sia del tutto chiaro, idrossicarbamide è in grado di ridurre il numero di cellule che circolano nel sangue nonché impedire ai

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



globuli rossi di cambiare forma nei pazienti affetti da malattia a cellule falciformi. Ciò riduce il rischio di ostruzione dei vasi sanguigni.

Idrossicarbamide, in passato noto come idrossiurea, è utilizzato da molti anni per trattare la malattia a cellule falciformi e, come Hydrea, da diversi decenni è autorizzato nei paesi dell'UE per alcuni tipi di cancro.

Quali benefici di Xromi sono stati evidenziati negli studi?

Poiché idrossicarbamide è un principio attivo comunemente usato da molti anni nell'UE, la ditta ha fornito informazioni tratte da pubblicazioni scientifiche riguardo ai benefici e ai rischi di idrossicarbamide negli usi approvati, come le informazioni provenienti da 4 studi principali riguardanti la malattia a cellule falciformi, di cui 3 studi su 384 adulti e bambini nei quali idrossicarbamide ha mostrato di ridurre in modo sostanziale il rischio di gravi e dolorose ostruzioni dell'afflusso di sangue (le cosiddette crisi vaso-occlusive) a confronto con un trattamento fittizio, e un quarto studio condotto su 121 bambini per i quali idrossicarbamide si era rilevato almeno altrettanto efficace di un trattamento standard con trasfusioni di sangue nel ridurre i danni ai vasi sanguigni del cervello e il rischio di ictus.

La ditta ha inoltre fornito informazioni provenienti da vari studi di supporto e, come per qualsiasi altro medicinale, anche studi che mostrano la qualità accettabile del medicinale. In aggiunta, la ditta ha svolto uno studio che ha mostrato la bioequivalenza di Xromi al medicinale di riferimento, Hydrea. Due medicinali sono bioequivalenti quando producono gli stessi livelli di principio attivo nell'organismo.

Quali sono i rischi associati a Xromi?

Gli effetti indesiderati più comuni di Xromi (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono la soppressione del midollo osseo (riduzione della capacità di produrre cellule ematiche) e ridotta fertilità negli uomini a causa dell'oligospermia (bassa concentrazione di spermatozoi) o dell'azoospermia (assenza di spermatozoi). Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Xromi, vedere il foglio illustrativo.

Xromi non deve essere utilizzato in persone che hanno gravi problemi renali o epatici, o che presentano una conta di globuli rossi pericolosamente bassa. Non deve essere utilizzato in gravidanza e l'allattamento al seno deve essere interrotto durante l'assunzione del medicinale. Xromi non deve essere utilizzato neanche nei pazienti che assumono medicinali per trattare l'infezione da HIV. Per l'elenco completo delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

Perché Xromi è autorizzato nell'UE?

La ditta ha fornito informazioni aggiornate che illustrano i benefici di idrossicarbamide nel prevenire le complicanze della malattia a cellule falciformi nei pazienti a partire dai 2 anni di età. Le questioni relative alla sicurezza con idrossicarbamide sono ben chiare e Xromi ha mostrato di essere bioequivalente a una medicinale autorizzato a base di idrossicarbamide. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Xromi sono superiori ai rischi e perciò può essere autorizzato per l'uso nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Xromi?

La ditta che commercializza Xromi metterà a disposizione un programma informativo per medici e pazienti circa l'uso corretto del medicinale e la prevenzione di danni, nel quale sono previste anche

istruzioni sull'uso della siringa appropriata per il dosaggio e indicazioni sulla necessità di effettuare periodicamente analisi del sangue.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Xromi sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Xromi sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Xromi sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Xromi

Ulteriori informazioni su Xromi sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

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