



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Xromi (*hydroxycarbamide*)

Een overzicht van Xromi en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Xromi en wanneer wordt het voorgeschreven?

Xromi is een geneesmiddel dat wordt gebruikt bij volwassenen, adolescenten en kinderen ouder dan twee jaar met sikkelcelziekte, een genetische ziekte waarbij de schijfvormige rode bloedcellen stijf en kleverig worden en de vorm van een halve maan (sikkel) aannemen. Xromi wordt gebruikt om zogeheten vaso-occlusieve complicaties te voorkomen. Dit zijn problemen die zich voordoen wanneer bloedvaten verstopt raken door de abnormale rode bloedcellen. Hierdoor wordt de bloedstroom naar delen van het lichaam ingeperkt.

Xromi is een 'hybride geneesmiddel'. Dit betekent dat het gelijk is aan een 'referentiegeneesmiddel' welke dezelfde werkzame stof bevat, maar dat het wordt toegediend als een in te slikken vloeistof in plaats van als capsules, en dat het voor andere toepassingen is toegelaten. Hydreia is het referentiegeneesmiddel voor Xromi.

De werkzame stof in Xromi is hydroxycarbamide.

Hoe wordt Xromi gebruikt?

Xromi is verkrijgbaar als een in te slikken vloeistof met 100 mg/ml hydroxycarbamide. De dosering is afhankelijk van het lichaamsgewicht van de patiënt. Patiënten beginnen gewoonlijk met een dagelijkse dosis van 15 mg per kg lichaamsgewicht. Indien nodig wordt deze aanvangsdosis elke acht weken verhoogd tot een maximum van 35 mg per kg. Bij het geneesmiddel worden twee orale doseerspuiten geleverd, een kleinere rode voor een dosis van maximaal 300 mg (3 ml vloeistof) en een grotere witte voor gebruik bij een hogere dosis. Patiënten moeten na een dosis Xromi water drinken om ervoor te zorgen dat de volledige dosis in de maag terechtkomt.

Xromi is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gecontroleerd door een professionele zorgverlener die ervaring heeft met het behandelen van sikkelcelziekte.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Xromi.

Hoe werkt Xromi?

De werkzame stof in Xromi, hydroxycarbamide, blokkeert de groei en reproductie van sommige cellen, zoals bloedcellen. Hoewel niet volledig duidelijk is op welke manier hydroxycarbamide werkt bij

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



sikkelcelziekte, kan het de aantallen cellen die in het bloed circuleren, verminderen en kan het verhinderen dat rode bloedcellen van vorm veranderen bij patiënten met deze ziekte. Dit vermindert het risico op verstopt raken van de bloedvaten.

Hydroxycarbamide, vroeger bekend onder de naam hydroxyureum, is jarenlang gebruikt voor de behandeling van sikkelcelziekte, en is al tientallen jaren in EU-landen toegelaten onder de naam Hydrea voor gebruik bij bepaalde vormen van kanker.

Welke voordelen bleek Xromi tijdens de studies te hebben?

Omdat hydroxycarbamide een gevestigde stof is die al vele jaren in de EU wordt gebruikt, heeft het bedrijf informatie uit de gepubliceerde literatuur verstrekt over de voordelen en risico's van hydroxycarbamide bij de goedgekeurde toepassingen ervan. Dit omvatte informatie uit vier hoofdstudies naar sikkelcelziekte. Uit drie studies onder 384 volwassenen en kinderen bleek dat hydroxycarbamide het risico van ernstige, pijnlijke blokkades van de bloedtoevoer (de zogenaamde vaso-occlusieve crises) aanzienlijk vermindert in vergelijking met een schijnbehandeling. Uit de vierde studie onder 121 kinderen bleek dat hydroxycarbamide minstens zo effectief was als de standaardbehandeling met bloedtransfusies voor het verminderen van de schade aan de bloedvaten in de hersenen en het risico van een beroerte.

Het bedrijf verstrekte ook informatie uit verschillende ondersteunende studies. Zoals voor elk geneesmiddel omvatte dit ook studies die aantoonde dat het geneesmiddel van aanvaardbare kwaliteit was. Het bedrijf heeft tevens een studie verricht die heeft aangetoond dat Xromi 'bio-equivalent' is aan het referentiegeneesmiddel, Hydrea. Twee geneesmiddelen zijn bio-equivalent wanneer ze dezelfde concentraties van de werkzame stof in het lichaam produceren.

Welke risico's houdt het gebruik van Xromi in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Xromi (die bij meer dan 1 op de 10 mensen kunnen optreden) zijn beenmergsuppressie (verminderd vermogen om bloedcellen te produceren) en verminderde vruchtbaarheid bij mannen als gevolg van oligospermie (laag aantal zaadcellen) of azoöspermie (afwezigheid van sperma). Zie de bijsluiters voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van Xromi.

Xromi mag niet worden gebruikt bij mensen die ernstige problemen met hun nieren of lever hebben of die gevaarlijk lage aantallen bloedcellen hebben. Het mag niet worden gebruikt tijdens de zwangerschap, en het geven van borstvoeding moet worden gestopt tijdens het gebruik van het geneesmiddel. Xromi mag ook niet worden gebruikt bij patiënten die geneesmiddelen gebruiken om hiv-infectie te behandelen. Zie de bijsluiters voor de volledige beschrijving van de beperkende voorwaarden.

Waarom is Xromi geregistreerd in de EU?

Het bedrijf heeft bijgewerkte informatie verstrekt over de voordelen van hydroxycarbamide bij het verhinderen van complicaties van sikkelcelziekte bij patiënten van twee jaar en ouder. De veiligheidsproblemen met hydroxycarbamide zijn goed bekend en Xromi is bio-equivalent gebleken aan een geregistreerd hydroxycarbamidegeneesmiddel. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Xromi groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Xromi te waarborgen?

Het bedrijf dat Xromi op de markt brengt, zal een voorlichtingsprogramma voor artsen en patiënten opzetten over de correcte toepassing van het geneesmiddel en verhindering van schade, inclusief richtsnoeren over het gebruik van de juiste doseerspuit en de noodzaak van regelmatig bloedonderzoek.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Xromi, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Xromi continu gevolgd. Bijwerkingen waargenomen voor Xromi worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig wordt actie genomen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Xromi

Meer informatie over Xromi is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xromi.