



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/82292/2021  
EMA/H/C/000593

## Xyrem (*hydroksymaślan sodu*)

Przegląd wiedzy na temat leku Xyrem i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

### **Czym jest lek Xyrem i w jakim celu się go stosuje**

Xyrem jest stosowany w leczeniu narkolepsji z katapleksją u osób dorosłych, młodzieży i dzieci w wieku od 7 lat.

Narkolepsja jest zaburzeniem snu powodującym nadmierną senność w ciągu dnia. Katapleksja jest objawem narkolepsji obejmującym nagłe osłabienie mięśni w odpowiedzi na reakcję emocjonalną, taką jak gniew, strach, radość, śmiech lub zaskoczenie. W niektórych przypadkach katapleksja może prowadzić do upadku pacjenta.

Substancją czynną zawartą w leku jest hydroksymaślan sodu.

### **Jak stosować lek Xyrem**

Xyrem jest roztworem doustnym, który rozcieńcza się w wodzie w celu wypicia. Pacjent powinien przyjmować dawkę przed snem, co najmniej 2-3 godziny po posiłku, a następnie drugą dawkę po upływie 2,5-4 godzin. Obie dawki należy przygotować w tym samym czasie, zanim pacjent położy się do łóżka. Do leku Xyrem dołączana jest strzykawka i kubek służące do sporządzania roztworu.

Osoby dorosłe powinny zwykle przyjmować od 4,5 g do 9 g na dobę w dwóch równych dawkach, natomiast ilość leku przyjmowana przez dzieci i młodzież zależy od masy ciała pacjenta. Pacjenci rozpoczynają leczenie od przyjmowania niskiej dawki, którą stopniowo zwiększa się.

Lek wydawany na specjalną receptę. Oznacza to, że lek podlega bardziej rygorystycznym wymaganiom niż zazwyczaj ze względu na ryzyko nieodpowiedniego stosowania leku. Terapię lekiem Xyrem powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu narkolepsji. Więcej informacji o sposobie stosowania leku Xyrem znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

### **Jak działa lek Xyrem**

Substancja czynna leku Xyrem, hydroksymaślan sodu, działa hamująco na ośrodkowy układ nerwowy. Dokładny mechanizm działania leku nie jest znany, jednak prawdopodobnie substancja ta przyłącza się do cząsteczek określonych receptorów na powierzchni niektórych komórek mózgowych. Prowadzi to do

**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



zmian w aktywności mózgu, wywołując sen wolnofalowy (fale delta) i sen nocny. Przyjmowanie leku Xyrem przed położeniem się spać wzmacnia sen głęboki i wydłuża czas snu w nocy, jednocześnie ograniczając liczbę okresów snu w ciągu dnia i napadów katapleksji. Powoduje to złagodzenie objawów narkolepsji.

## **Korzyści ze stosowania leku Xyrem wykazane w badaniach**

W czterech badaniach z udziałem 707 osób dorosłych wykazano, że lek Xyrem skuteczniej niż placebo (leczenie pozorowane) łagodzi objawy choroby. W pierwszym badaniu podawanie dziennej dawki w wysokości 9 g zmniejszyło liczbę napadów katapleksji o 16,1 (z 23,5 do 7,4) tygodniowo, w porównaniu ze spadkiem o 4,3 tygodniowo u pacjentów przyjmujących placebo.

W drugim badaniu wykazano, że działanie leku Xyrem zapobiegające napadom katapleksji utrzymywało się w trakcie długotrwałego leczenia: w ciągu dwóch tygodni nie odnotowano zmian w liczbie napadów u pacjentów stale przyjmujących lek Xyrem, w porównaniu do wzrostu tej liczby o 21,0 u pacjentów, którzy przestawili się na placebo.

W dwóch innych badaniach wykazano, że lek Xyrem zmniejsza również nadmierną senność w ciągu dnia u osób dorosłych przyjmujących nadal modafinil (inny lek), jak również u osób przyjmujących Xyrem w monoterapii.

W kolejnym badaniu wykazano, że u dzieci w wieku 7-17 lat stale przyjmujących lek Xyrem występowało mniej objawów narkolepsji z katapleksją niż u dzieci, które rozpoczęły przyjmowanie placebo po okresie stosowania leku Xyrem.

## **Ryzyko związane ze stosowaniem leku Xyrem**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Xyrem (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: zawroty głowy, ból głowy i nudności (mdłości). Nudności częściej występują u kobiet niż u mężczyzn. Najpoważniejsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Xyrem to: próby samobójcze, psychoza (zaburzenia myślenia), depresja oddechowa (zahamowanie oddychania) i drgawki. Ogólnie działania niepożądane u dzieci są podobne do tych, które występują u osób dorosłych: najczęstsze działania niepożądane (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 20 pacjentów) to: moczenie nocne, nudności (mdłości) i wymioty, utrata masy ciała, utrata apetytu, ból głowy i zawroty głowy. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Xyrem znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leku Xyrem nie należy podawać osobom, u których może występować nadwrażliwość (alergia) na hydroksymaślan sodu lub którykolwiek z pozostałych składników leku. Leku nie wolno także stosować u pacjentów z dużą depresją, u pacjentów z niedoborem dehydrogenazy semialdehydu bursztynowego (rzadko występującym zaburzeniem metabolicznym) ani u pacjentów leczonych opioidami (takimi jak niektóre leki przeciwbólowe) lub barbituranami (takimi jak niektóre leki znieczulające i przeciwdrgawkowe).

Ponieważ istnieje ryzyko nadużywania hydroksymaślanu sodu, lekarze muszą uważnie monitorować pacjentów przyjmujących lek Xyrem. Pacjentom odradza się także picie alkoholu podczas stosowania leku Xyrem. Pełny wykaz ograniczeń znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Xyrem w UE**

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Xyrem przewyższają ryzyko. U osób dorosłych, choć dawka wynosząca 9-g była najskuteczniejsza, była ona związana z występowaniem licznych działań niepożądanych. Dlatego też Komitet zalecił dawkę początkową w wysokości 4,5 g na dobę. (U dzieci dawka początkowa zależy od masy ciała.) Ponieważ skuteczna dawka jest zbliżona do dawki, której przyjmowanie powoduje występowanie poważnych działań niepożądanych, zwiększanie dawki musi być ściśle nadzorowane przez lekarza specjalizującego się w leczeniu zaburzeń snu. Agencja zaleciła przyznanie pozwolenia na dopuszczenie leku Xyrem do obrotu.

## **Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Xyrem**

Firma wprowadzająca lek Xyrem do obrotu udostępni lekarzom materiały edukacyjne, zawierające informacje na temat depresji oddechowej (zahamowania oddychania) i możliwości niewłaściwego stosowania leku. Materiały będą również zawierały instrukcje dla pacjentów oraz kartę ostrzeżeń dla pacjenta.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Xyrem w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane na temat stosowania leku Xyrem są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Xyrem są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

## **Inne informacje dotyczące leku Xyrem**

Lek Xyrem otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 13 października 2005 r.

Dalsze informacje dotyczące leku Xyrem znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xyrem](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xyrem)

Data ostatniej aktualizacji: 02.2021.