



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/2113/2022
EMA/H/C/004869

Oxbryta (vokselotori)

Yleistiedot Oxbrytasta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Oxbryta on ja mihin sitä käytetään?

Oxbryta on lääke, jota käytetään hemolyyttisen anemian (veren punasolujen liiallinen hajoaminen) hoitoon vähintään 12-vuotiailla potilailla, joilla on sirppisolutauti. Oxbrytaa voidaan antaa yksinään tai yhdessä toisen sirppisolusairauden hoitoon tarkoitetun lääkkeen, hydroksikarbamidin, kanssa.

Sirppisolutauti on geneettinen sairaus, jossa elimistön tuottaman hemoglobiinin (happea kuljettava punasolujen proteiini) muoto on poikkeava. Punaverisolut muuttuvat jäykiksi ja tahmeiksi ja niiden muoto muuttuu kiekkomaisesta sirpin muotoisiksi. Sirppisolutauti on harvinainen sairaus ja Oxbryta nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 18. marraskuuta 2016. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769.

Oxbrytan vaikuttava aine on vokselotori.

Miten Oxbrytaa käytetään?

Oxbrytaa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta sirppisolutaudin hoidosta.

Valmistetta on saatavana suun kautta otettavina tabletteina, ja tavanomainen suositeltu annos on 1 500 mg kerran vuorokaudessa.

Lisätietoja Oxbrytan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Oxbryta vaikuttaa?

Sirppisolutaudissa veren poikkeava hemoglobiini vapauttaa happea, minkä seurauksena hemoglobiinimolekyylit takertuvat yhteen muodostaen jäykkiä ketjuja, jolloin punasolujen muoto muuttuu sirppimäiseksi ja solut hajoavat nopeammin. Tämä voi tukkia verisuonia, ja lisäksi se vähentää punasolujen määrää, jolloin happea kehon eri osiin kuljettavan oikein toimivan hemoglobiinin määrä vähenee. Oxbrytan vaikuttava aine vokselotori vaikuttaa parantamalla hemoglobiinin kykyä sitoa happea ja estämällä sitä muodostamasta ketjuja. Tämä auttaa punasoluja säilyttämään normaalin muotonsa ja joustavuutensa, vähentää niiden liiallista hajoamista ja pidentää niiden elinkaarta.

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



Mitä hyötyä Oxbrytasta on havaittu tutkimuksissa?

Oxbrytan on osoitettu parantavan hemolyyttistä anemiaa päätutkimuksessa, johon osallistui 247 sirppisolutautia sairastavaa 12–64-vuotiasta potilasta. Potilaille annettiin Oxbrytaa tai lumelääkettä sekä hydroksikarbamidihoitoa, jos se oli jo aloitettu aiemmin. Hoidon alussa keskimääräinen hemoglobiinipitoisuus potilailla oli 8,5 g/dl. 24 viikon hoidon jälkeen hemoglobiinipitoisuus oli parantunut vähintään 1 g/dl noin 51 prosentilla Oxbrytaa 1 500 mg vuorokaudessa saaneista potilaista (46 potilasta 90:stä), kun lumelääkettä saaneiden vastaava osuus oli 6,5 prosenttia (6 potilasta 92:sta). Myös muut mittarit osoittivat, että Oxbryta vähensi punasolujen hajoamista.

Mitä riskejä Oxbrytaan liittyy?

Oxbrytan yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat päänsärky, ripuli ja vatsakipu. Vakavimpia haittavaikutuksia, joita esiintyy noin yhdellä potilaalla sadasta, ovat päänsärky ja yliherkkyysoireet (allergiset reaktiot).

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Oxbrytan haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Oxbryta on hyväksytty EU:ssa?

Sirppisolutaudin käytössä oleviin hoitoihin lukeutuu jo lääkkeitä, joilla ehkäistään kipukohtauksia, jotka aiheutuvat siitä, että sirppisolut estävät veren kulkeutumisen elintärkeisiin elimiin. Sairauteen liittyvän anemian hoitoon ei kuitenkaan ole riittävästi hoitovaihtoehtoja. Anemia aiheuttaa väsymystä, kroonista kipua sekä vaikuttaa muiden komplikaatioiden syntyyn. Oxbrytan on osoitettu parantavan anemiaa lisäämällä veren hemoglobiinipitoisuutta ja vähentämällä punasolujen hajoamista. Vielä ei ole selvää, missä määrin tämä parantaa kliinisiä oireita ja elämänlaatua pitkällä aikavälillä, koska lääkkeen vaikutus voi myös heikentää hemoglobiinin kykyä vapauttaa happea kehon kudoksiin. Koska haittavaikutukset vaikuttavat kuitenkin olevan vähäisiä ja hallittavissa, Euroopan lääkevirasto katsoi, että Oxbrytan hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Oxbrytan turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Oxbrytan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Oxbrytan käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Oxbrytasta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Oxbrytasta

Lisää tietoa Oxbrytasta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta.