



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Oxbryta (*voxelotor*)

Aperçu d'Oxbryta et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce qu'Oxbryta et dans quel cas est-il utilisé?

Oxbryta est un médicament utilisé dans le traitement de l'anémie hémolytique (dégradation excessive des globules rouges) chez les patients âgés de 12 ans et plus atteints de drépanocytose. Oxbryta peut être administré seul ou en association avec un autre médicament contre la drépanocytose appelé hydroxycarbamide.

La drépanocytose est une maladie génétique dans laquelle les individus produisent une forme anormale d'hémoglobine (la protéine présente dans les globules rouges qui transporte l'oxygène). Les globules rouges deviennent rigides et collants et perdent leur forme de disque pour prendre celle d'un croissant (comme une faucille). La drépanocytose est rare et Oxbryta a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 18 novembre 2016. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769.

Oxbryta contient la substance active voxelotor.

Comment Oxbryta est-il utilisé?

Oxbryta n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré par un médecin expérimenté dans le traitement de la drépanocytose.

Le médicament est disponible sous la forme de comprimés à prendre par voie orale et la dose habituelle recommandée est de 1 500 mg une fois par jour.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Oxbryta, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Oxbryta agit-il?

Dans la drépanocytose, la drépanocytose des globules rouges apparaît lorsque l'hémoglobine anormale libère son oxygène, puis s'agrège pour former des chaînes rigides qui modifient la forme des cellules et les font se dégrader plus rapidement. En plus de bloquer potentiellement les vaisseaux sanguins, cela entraîne une diminution du nombre de globules rouges et une diminution de l'hémoglobine fonctionnelle capable de transporter l'oxygène dans l'organisme. La substance active d'Oxbryta, le

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



voxelotor, agit en améliorant la capacité de l'hémoglobine à retenir l'oxygène et en l'empêchant de former des chaînes. Cela aide les globules rouges à conserver une forme et une souplesse normales, ce qui réduit leur dégradation excessive et améliore leur durée de vie.

Quels sont les bénéfices d'Oxbryta démontrés au cours des études?

Il a été démontré qu'Oxbryta améliore l'anémie hémolytique dans une étude principale portant sur 247 patients âgés de 12 à 64 ans atteints de drépanocytose. Les patients ont reçu Oxbryta ou un placebo (un traitement fictif) et ont poursuivi le traitement à l'hydroxycarbamide s'ils le recevaient déjà. Au début du traitement, le taux moyen d'hémoglobine était de 8,5 g par dl de sang. Après 24 semaines de traitement, le taux d'hémoglobine s'était amélioré d'au moins 1 g par dl dans environ 51 % du groupe ayant reçu Oxbryta 1 500 mg par jour (46 patients sur 90), contre 6,5 % de ceux sous placebo (6 patients sur 92). D'autres mesures ont également montré des réductions de la dégradation des globules rouges avec Oxbryta.

Quels sont les risques associés à l'utilisation d'Oxbryta?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Oxbryta (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont les maux de tête, la diarrhée et les douleurs abdominales (au ventre). Les effets indésirables les plus graves, qui touchent environ une personne sur 100, sont les maux de tête et les réactions d'hypersensibilité (allergiques).

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Oxbryta, voir la notice.

Pourquoi Oxbryta est-il autorisé dans l'UE?

Les traitements actuels de la drépanocytose comprennent déjà des médicaments destinés à prévenir les crises douloureuses causées par le blocage de l'approvisionnement en sang des organes vitaux. Cependant, il existe un besoin médical non satisfait pour les traitements destinés à prendre en charge l'anémie associée à la maladie, qui entraîne une fatigue et des douleurs chroniques et contribue à d'autres complications. Il a été démontré qu'Oxbryta améliore l'anémie en augmentant les taux d'hémoglobine et en réduisant la dégradation des globules rouges. On ne sait pas encore clairement dans quelle mesure cela améliorera les symptômes cliniques et la qualité de vie à long terme, étant donné que l'action du médicament peut également réduire la capacité de l'hémoglobine à libérer de l'oxygène dans les tissus de l'organisme. Néanmoins, étant donné que les effets indésirables semblent être limités et gérables, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices d'Oxbryta sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Oxbryta?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Oxbryta ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation d'Oxbryta sont surveillées en permanence. Les effets indésirables rapportés avec Oxbryta sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Oxbryta

Des informations sur Oxbryta sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta.