



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Oxbryta (*voxelotor*)

Flarsa ġenerali lejn Oxbryta u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Oxbryta u għal xiex jintuża?

Oxbryta huwa mediċina li tintuża għat-trattament ta' anemija emolitika (tkissir żejjed ta' ċelluli ħomor tad-demmi) f'pazjenti li għandhom 12-il sena u aktar li għandhom il-marda taċ-ċelluli tad-demmi forma ta' mingel (sickle cell disease). Oxbryta jista' jingħata waħdu jew flimkien ma' mediċina oħra għal-marda taċ-ċelluli tad-demmi forma ta' mingel (sickle cell disease) msejja hydroxycarbamide.

Il-marda taċ-ċelluli tad-demmi forma ta' mingel (sickle cell disease) hija marda ġenetika fejn l-individwi jipproduċu forma anormali ta' emoglobina (il-proteina fiċ-ċelluli ħomor tad-demmi li ġgorr l-ossigenu). Iċ-ċelluli ħomor tad-demmi isiru riġidi u jwaħħlu, u jinbidlu minn forma ta' diska għal forma ta' nofs qamar (bħal mingel). Il-marda taċ-ċelluli tad-demmi forma ta' mingel (sickle cell disease) hija rari, u Oxbryta ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fit-18 ta' Novembru 2016. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab hawn: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769.

Oxbryta fih is-sustanza attiva voxelotor.

Kif jintuża Oxbryta?

Oxbryta jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u t-trattament għandu jinbeda minn tabib b'esperjenza fit-trattament tal-marda taċ-ċelluli tad-demmi forma ta' mingel (sickle cell disease).

Il-mediċina tiġi bħala pilloli li għandhom jittieħdu mill-ħalq u d-doża rakkomandata tas-soltu hija 1 500 mg li tittieħed darba kuljum.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Oxbryta, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Kif jaħdem Oxbryta?

Fil-marda taċ-ċelluli tad-demmi forma ta' mingel (sickle cell disease), is-sickling taċ-ċelluli ħomor tad-demmi iseħħ meta l-emoglobina anormali tirrilaxxa l-ossigenu tagħha u mbagħad tehel flimkien biex tiffirma katini riġidi li jagħmlu ċ-ċelluli jinbidlu fil-forma u jġiegħluhom jinqasmu aktar malajr. Minbarra li potenzjalment jimblokka l-važi, dan iwassal għal għadd aktar baxx ta' ċelluli ħomor tad-demmi u emoglobina li taħdem inqas li kapaċi ġgorr l-ossigenu madwar il-ġisem. Is-sustanza attiva

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



f'Oxbryta, il-voxelotor, taħdem billi ttejjeb il-kapaċità tal-emoglobina li żżomm mal-ossiġnu, u tipprevjenha milli tiffirma ktajjen. Dan jgħin liċ-ċelluli ħomor tad-demem biex iżommu forma normali u flessibbiltà, inaqqsu t-tkissir eċċessiv tagħhom u jtejjbu l-ħajja tagħhom.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Oxbryta li ħarġu mill-istudji?

Intwera li Oxbryta tejjeb l-anemija emolitika fi studju ewlieni li involva 247 pazjent li għandhom bejn 12 u 64 sena bil-marda taċ-ċelluli tad-demem forma ta' mingel (sickle cell disease). Il-pazjenti ngħataw Oxbryta jew placebo (trattament fint) kif ukoll komplew it-trattament b'hydroxycarbamide jekk diġà kienu qed jirċevuha. Fil-bidu tat-trattament, il-livell medju ta' emoglobina kien 8.5 g għal kull dL ta' demem. Wara trattament għal 24 ġimgħa, il-livell ta' emoglobina tjeb b'tal-inqas 1 g għal kull dL f'madwar 51 % tal-grupp li ngħata Oxbryta 1 500 mg kuljum (46 minn 90 pazjent) b'kuntrast ma' 6.5 % ta' daww li kienu qed jieħdu l-placebo (6 minn 92). Mizuri oħra wrew ukoll tnaqqis fit-tkissir taċ-ċelluli ħomor tad-demem b'Oxbryta.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Oxbryta?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Oxbryta (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) huma wġiġħ ta' ras, dijarea u wġiġħ addominali (taż-żaqq). L-effetti sekondarji l-aktar serji, li jaffettwaw madwar persuna 1 minn kull 100, jinkludu wġiġħ ta' ras u reazzjonijiet (allergjiċi) ta' sensitività eċċessiva.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Oxbryta, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex Oxbryta ġie awtorizzat fl-UE?

It-trattamenti attwali għall-marda taċ-ċelluli tad-demem forma ta' mingel (sickle cell disease) diġà jinkludu mediċini għall-prevenzjoni tal-kriżijiet bl-uġiġħ ikkawżati meta ċ-ċelluli tad-demem forma ta' mingel jimblukaw il-provvista tad-demem għall-organi vitali. Madankollu, hemm ħtieġa medika mhux sodisfata għal trattamenti biex jimmaniġġjaw l-anemija assoċjata mal-kundizzjoni, li twassal għal għeja u wġiġħ kroniku kif ukoll tikkontribwixxi għal kumplikazzjonijiet oħra. Intwera li Oxbryta jtejjeb l-anemija billi jżid il-livelli tal-emoglobina u jnaqqas it-tkissir taċ-ċelluli ħomor. Għadu mhuwiex ċar sa liema punt dan sejjer itejjeb is-sintomi kliniċi u l-kwalità tal-ħajja fuq perjodu ta' żmien itwal, peress li l-azzjoni tal-mediċina tista' wkoll tnaqqas il-kapaċità tal-emoglobina li tirrilaxxa l-ossiġnu lit-tessuti tal-ġisem. Madankollu, peress li l-effetti sekondarji jidhru li huma limitati u maniġġabbli, l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Oxbryta huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'mizuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Oxbryta?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inkluzi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Oxbryta.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-data dwar l-użu ta' Oxbryta hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati b'Oxbryta huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħhuda biex tiproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Oxbryta

Aktar informazzjoni dwar Oxbryta tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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