



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Oxbryta (*wokselotor*)

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

Czym jest lek Oxbryta i w jakim celu się go stosuje

Oxbryta jest lekiem stosowanym w leczeniu niedokrwistości hemolitycznej (nadmierny rozpad krwinek czerwonych) u pacjentów w wieku od 12 lat z niedokrwistością sierpowatokrwinkową. Lek Oxbryta można podawać w monoterapii lub w skojarzeniu z innym lekiem stosowanym w leczeniu niedokrwistości sierpowatokrwinkowej, zwanym hydroksymocznikiem.

Niedokrwistość sierpowatokrwinkowa jest chorobą genetyczną, w przebiegu której organizm wytwarza nieprawidłową postać hemoglobiny (białko występujące w krwinkach czerwonych, które przenosi tlen). Krwinki czerwone stają się sztywne i lepkie, a ich kształt zmienia się z postaci dysku na półksiężyc (sierp). Ze względu na to, że niedokrwistość sierpowatokrwinkową uznano za chorobę rzadko występującą, w dniu 18 listopada 2016 r. lek Oxbryta uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierociego można znaleźć tutaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769.

Substancją czynną zawartą w leku Oxbryta jest wokselotor.

Jak stosować lek Oxbryta

Lek Oxbryta wydaje się wyłącznie na receptę, a leczenie powinien rozpoczynać lekarz z doświadczeniem w leczeniu niedokrwistości sierpowatokrwinkowej.

Lek jest dostępny w postaci tabletek do przyjmowania doustnego, a zalecana dawka wynosi zazwyczaj 1500 mg raz na dobę.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Oxbryta znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Oxbryta

W niedokrwistości sierpowatokrwinkowej zmiana kształtu krwinek czerwonych na sierpowaty ma miejsce, gdy nieprawidłowa hemoglobina uwalnia tlen, a następnie zbija się, tworząc sztywne łańcuchy, które sprawiają, że komórki zmieniają kształt i szybciej się rozkładają. Oprócz potencjalnego blokowania naczyń krwionośnych prowadzi to do zmniejszenia liczby krwinek czerwonych i

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



zmniejszenia ilości funkcjonalnej hemoglobiny zdolnej do przenoszenia tlenu w organizmie. Substancja czynna leku Oxbryta, wkselotor, poprawia zdolność hemoglobiny do utrzymywania tlenu i zapobiega tworzeniu się łańcuchów. Pomaga to krwinkom czerwonym utrzymać prawidłowy kształt i elastyczność, ograniczając rozpad i wydłużając okres ich życia.

Korzyści ze stosowania leku Oxbryta wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem 247 pacjentów w wieku od 12 do 64 lat z niedokrwistością sierpowatokrwinkową wykazano, że lek Oxbryta zapewnia poprawę w przypadku niedokrwistości hemolitycznej. Pacjentom podawano lek Oxbryta lub placebo (leczenie pozorowane), a także kontynuowano leczenie hydroksymocznikiem, jeżeli pacjenci już go otrzymywali. Na początku leczenia średnie stężenie hemoglobiny wynosiło 8,5 g na dl krwi. Po 24 tygodniach leczenia poziom hemoglobiny uległ poprawie o co najmniej 1 g na dl u około 51%(46 z 90 pacjentów) pacjentów w grupie, w której podawano lek Oxbryta w dawce 1500 mg na dobę, w porównaniu z 6,5% (6 z 92) pacjentów przyjmujących placebo. Również na podstawie innych parametrów wykazano ograniczenie rozpadu krwinek czerwonych dzięki stosowaniu leku Oxbryta.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Oxbryta

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Oxbryta (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: ból głowy, biegunka i ból brzucha. Najcięższe działania niepożądane, występujące u około 1 na 100 pacjentów, obejmują ból głowy i reakcje nadwrażliwości (reakcje alergiczne).

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Oxbryta znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Oxbryta w UE

Obecnie dostępne leki stosowane w leczeniu niedokrwistości sierpowatokrwinkowej obejmują już leki zapobiegające bolesnym przełomom wywołanym w czasie, gdy krwinki sierpowate blokują dopływ krwi do ważnych narządów. Istnieje jednak niezaspokojone zapotrzebowanie medyczne na leki przeznaczone do stosowania w przypadku niedokrwistości związanej z tą chorobą, która powoduje zmęczenie i przewlekły ból, a także inne powikłania. Wykazano, że lek Oxbryta zapewnia poprawę w przypadku niedokrwistości poprzez zwiększenie stężenia hemoglobiny i ograniczenie rozpadu krwinek czerwonych. Nie jest jeszcze jasne, w jakim stopniu wpłynie to na złagodzenie objawów klinicznych i poprawę jakości życia w dłuższym okresie, ponieważ działanie leku może również zmniejszyć zdolność hemoglobiny do uwalniania tlenu do tkanek organizmu. Niemniej jednak, ponieważ działania niepożądane wydają się być ograniczone i możliwe do kontrolowania, Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Oxbryta przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Oxbryta

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

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Oxbryta są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Oxbryta są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Oxbryta

Dalsze informacje na temat leku Oxbryta znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta.