



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/111619/2024
EMA/H/C/004837

Xromi (*hydroksykarbamid*)

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

Czym jest lek Xromi i w jakim celu się go stosuje

Xromi to lek stosowany u osób dorosłych, młodzieży i dzieci od 9. miesiąca życia z niedokrwistością sierpowatokrwinkową — chorobą genetyczną, w przebiegu której krwinki czerwone stają się sztywne i lepkie oraz zmieniają swój kształt z dysku na półksiężyc (podobny do sierpa). Lek Xromi stosuje się w zapobieganiu tzw. powikłaniom zatorowym, które pojawiają się, gdy nieprawidłowe krwinki czerwone blokują naczynia krwionośne i ograniczają dopływ krwi do różnych części organizmu.

Substancją czynną zawartą w leku Xromi jest hydroksykarbamid. Lek Xromi jest lekiem hybrydowym. Oznacza to, że jest podobny do leku referencyjnego zawierającego tę samą substancję czynną, lecz podaje się go w postaci roztworu do połykania, a nie kapsułek, i jest on dopuszczony do stosowania w innych wskazaniach. Lekiem referencyjnym dla leku Xromi jest Hydrea.

Jak stosować lek Xromi

Lek wydawany na receptę. Leczenie musi nadzorować pracownik medyczny z doświadczeniem w leczeniu niedokrwistości sierpowatokrwinkowej.

Lek Xromi ma postać roztworu do połykania, a jego dawka zależy od masy ciała pacjenta. Przyjętą dawkę leku Xromi należy popić wodą, aby zapewnić, że cała dawka trafi do żołądka.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Xromi znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzielią ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Xromi

Substancja czynna leku Xromi, hydroksykarbamid, blokuje wzrost i namnażanie się niektórych komórek, takich jak krwinki. Choć sposób jego działania w przypadku niedokrwistości sierpowatokrwinkowej nie jest w pełni zrozumiany, to hydroksykarbamid zmniejsza miano komórek krążących we krwi, a u pacjentów dotkniętych tą chorobą, a także zapobiega zmianie kształtu krwinek czerwonych. Ogranicza to ryzyko zablokowania naczyń krwionośnych.

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



Hydroksykarbamid, który wcześniej nazywano hydroksymocznikiem, jest stosowany od wielu lat w leczeniu niedokrwistości sierpowatokrwinkowej, a jako lek Hydrea jest dopuszczony od dziesięcioleci w niektórych krajach UE do stosowania w leczeniu niektórych rodzajów nowotworów.

Korzyści ze stosowania leku Xromi wykazane w badaniach

Ponieważ hydroksykarbamid to stosowana w UE od wielu lat substancja o dobrze ustalonym działaniu, firma przedstawiła pochodzące z publikacji literaturowych informacje o korzyściach i ryzyku związanych ze stosowaniem hydroksykarbamidu w jego zarejestrowanych wskazaniach. Obejmowały one informacje z 4 badań głównych dotyczących niedokrwistości sierpowatokrwinkowej, w tym 3 badań z udziałem 384 osób dorosłych i dzieci, u których wykazano, że hydroksykarbamid w porównaniu z leczeniem pozorowanym znacznie zmniejsza ryzyko ciężkich, bolesnych blokad w dopływie krwi (nazywanych też przełomami zatorowymi). Czwarte badanie z udziałem 121 dzieci wykazało, że hydroksykarbamid jest co najmniej tak samo skuteczny jak standardowe leczenie (przetaczanie krwi) pod względem ograniczania uszkodzeń naczyń krwionośnych w mózgu i ryzyka udaru.

Dane z dodatkowego badania sugerują, że oczekiwane działanie leku Xromi u dzieci od 9. miesiąca życia będzie takie samo jak u starszych dzieci. Dalsze dane z opublikowanego badania sugerują, że także bezpieczeństwo stosowania hydroksykarbamidu i korzyści z jego stosowania u dzieci od 9. miesiąca życia będą zbliżone do tych obserwowanych u dzieci starszych.

Firma przedstawiła też informacje z różnych badań uzupełniających. Tak jak w przypadku wszystkich leków, obejmowały one badania wykazujące akceptowalną jakość leku. Przeprowadzono również badanie wykazujące, że lek Xromi jest biorównoważny z lekiem referencyjnym Hydrea. Dwa leki są biorównoważne, gdy doprowadzają do wystąpienia jednakowego stężenia substancji czynnej w organizmie.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Xromi

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Xromi znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Xromi (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to supresja szpiku kostnego (ograniczona zdolność wytwarzania krwinek) i zmniejszona płodność u mężczyzn wskutek oligospermii (niskiej liczby plemników) albo azospermii (braku plemników).

Leku Xromi nie należy stosować u pacjentów z poważnymi zaburzeniami czynności nerek lub wątroby bądź niebezpiecznie niskimi mianami komórek krwi. Leku nie należy stosować w okresie ciąży. W czasie przyjmowania leku należy przerwać karmienie piersią. Leku Xromi nie należy też stosować u pacjentów przyjmujących leki na zakażenie wirusem HIV.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Xromi w UE

Firma przedstawiła zaktualizowane informacje wskazujące na korzyści ze stosowania hydroksykarbamidu w zapobieganiu powikłaniom niedokrwistości sierpowatokrwinkowej u pacjentów powyżej 9. miesiąca życia. Kwestie związane z bezpieczeństwem stosowania hydroksykarbamidu są dobrze poznane, a biorównoważność leku Xromi z zarejestrowanym lekiem zawierającym hydroksykarbamid została wykazana. Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Xromi przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Xromi

Firma, która wprowadza lek Xromi do obrotu, udostępni lekarzom i pacjentom materiały edukacyjne dotyczące właściwego stosowania leku i sposobów minimalizacji związanego z nim ryzyka.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Xromi 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 o stosowaniu leku Xromi są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Xromi są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Xromi

Lek Xromi otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 1 lipca 2019 r.

Dalsze informacje dotyczące leku Xromi znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xromi.

Data ostatniej aktualizacji: 03.2024.