



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Oxbryta (voxelotor)

Prezentare generală a Oxbryta și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Oxbryta și pentru ce se utilizează?

Oxbryta este un medicament utilizat pentru tratarea anemiei hemolitice (distrugerea în exces a globulelor roșii) la pacienți cu siclemie, cu vârsta de cel puțin 12 ani. Oxbryta se poate administra în monoterapie sau în asociere cu alt medicament pentru tratarea siclemiei, numit hidroxycarbamidă.

Siclemia este o boală genetică în care se produce o formă anormală a hemoglobinei (proteina din globulele roșii care transportă oxigenul). Globulele roșii devin rigide și lipicioase și își schimbă forma de disc în formă de semilună (ca o seceră). Siclemia este o boală rară și Oxbryta a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 18 noiembrie 2016. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite aici: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769.

Oxbryta conține substanța activă voxelotor.

Cum se utilizează Oxbryta?

Oxbryta se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat de un medic cu experiență în tratarea siclemiei.

Medicamentul este disponibil sub formă de comprimate cu administrare orală, iar doza uzuală recomandată este de 1500 mg o dată pe zi.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Oxbryta, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Oxbryta?

În siclemie, scleroza eritrocitelor apare când hemoglobina anormală eliberează oxigenul și apoi se lipește și formează lanțuri rigide care determină schimbarea formei celulelor și cauzează descompunerea lor mai rapidă. La fel ca posibila blocare a vaselor de sânge, acest lucru duce la scăderea numărului de globule roșii și la scăderea nivelului de hemoglobină activă care poate să transporte oxigen în organism. Substanța activă din Oxbryta, voxelotorul, acționează îmbunătățind capacitatea hemoglobinei de a reține oxigenul și împiedicând-o să formeze lanțuri. Acest lucru ajută



globulele roșii să-și mențină forma normală și flexibilitatea, reducând descompunerea excesivă și prelungindu-le durata de viață.

Ce beneficii a prezentat Oxbryta pe parcursul studiilor?

Într-un studiu clinic la care au participat 247 de pacienți cu siclemie cu vârste cuprinse între 12 și 64 de ani, s-a demonstrat că Oxbryta îmbunătățește anemia hemolitică. Pacienților li s-a administrat Oxbryta sau placebo (un preparat inactiv) și, în același timp, au continuat tratamentul cu hidroxicarbamidă dacă îl primeau deja. La începutul tratamentului, concentrația medie de hemoglobină a fost de 8,5 g/dl de sânge. După 24 de săptămâni de tratament, concentrația de hemoglobină s-a îmbunătățit cu cel puțin 1 g/dl la aproximativ 51 % din grupul cărui i s-a administrat Oxbryta 1500 mg pe zi (46 de pacienți din 90), față de 6,5 % din cei cărora li s-a administrat placebo (6 din 92). Alte măsuri au indicat și reducerea descompunerii globulelor roșii în timpul tratamentului cu Oxbryta.

Care sunt riscurile asociate cu Oxbryta?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Oxbryta (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt dureri de cap, diaree și dureri abdominale (de burtă). Cele mai grave reacții adverse, care afectează aproximativ 1 persoană din 100, includ dureri de cap și hipersensibilitate (alergie).

Pentru lista completă a reacțiilor adverse raportate și a restricțiilor asociate cu Oxbryta, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Oxbryta în UE?

Tratamentele actuale pentru siclemie includ deja medicamente pentru prevenirea crizelor dureroase cauzate de celulele falciforme care blochează alimentarea cu sânge a organelor vitale. Cu toate acestea, există o necesitate medicală nesatisfăcută în ceea ce privește tratamentele pentru gestionarea anemiei asociate cu această afecțiune, care duce la oboseală și dureri cronice, precum și la alte complicații. S-a demonstrat că Oxbryta ameliorează anemia prin creșterea concentrației de hemoglobină și prin reducerea descompunerii globulelor roșii. Nu este încă clar în ce măsură aceste rezultate vor ameliora simptomele clinice și calitatea vieții pe termen lung, întrucât acțiunea medicamentului poate reduce și capacitatea hemoglobinei de a elibera oxigen în țesuturile organismului. Cu toate acestea, întrucât reacțiile adverse par a fi limitate și gestionabile, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Oxbryta sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Oxbryta?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Oxbryta, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Oxbryta sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate pentru Oxbryta sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Oxbryta

Informații suplimentare cu privire la Oxbryta sunt disponibile pe site-ul agenției:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta.