



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Oxbryta (*voxelotor*)

Sammanfattning av Oxbryta och varför det är godkänt inom EU

Vad är Oxbryta och vad används det för?

Oxbryta är ett läkemedel som används för att behandla hemolytisk anemi (upptrappad nedbrytning av röda blodkroppar) hos patienter från 12 års ålder som har sicklecellanemi. Oxbryta kan ges ensamt eller tillsammans med ett annat läkemedel mot sicklecellanemi, hydroxikarbamid.

Sicklecellanemi är en genetisk sjukdom som innebär att patienten producerar en onormal form av hemoglobin (det protein i de röda blodkropparna som transporterar syre). De röda blodkropparna stelnar, blir klibbiga och ändrar form från att vara runda skivor till att se ut som halvcirkelformade skärar. Sicklecellanemi är sällsynt och Oxbryta klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 18 november 2016. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns här:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769.

Oxbryta innehåller den aktiva substansen voxelotor.

Hur används Oxbryta?

Oxbryta är receptbelagt och behandling ska inledas av en läkare med erfarenhet av att behandla sicklecellanemi.

Läkemedlet finns som tabletter som ska tas genom munnen. Den vanliga rekommenderade dosen är 1 500 mg en gång om dagen.

För mer information om hur du använder Oxbryta, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Oxbryta?

Vid sicklecellanemi frisätter det onormala hemoglobinet syret som det transporterar och klumpar sedan ihop sig till rigida kedjor. Under denna process blir de röda blodkropparna halvmåneformade och mer kortlivade. Detta leder till ökad risk för att blodkärlen täpps till, men innebär också att de röda blodkropparna blir färre och att mängden syretransporterande hemoglobin minskar. Den aktiva substansen i Oxbryta, voxelotor, verkar genom att förbättra hemoglobinet förmåga att hålla kvar syre och hindra de röda blodkropparna från att klibba ihop till kedjor. Detta bidrar till att de röda

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



blodkropparna kan behålla sin normala form och flexibilitet, vilket i sin tur minskar deras snabba nedbrytning och gör att de lever längre.

Vilka fördelar med Oxbryta har visats i studierna?

I en huvudstudie på 247 patienter i åldern 12–64 år med sicklecellanemi visades Oxbryta ha positiva effekter mot hemolytisk anemi. Patienterna fick Oxbryta eller placebo (overksam behandling) och de patienter som sedan tidigare tog hydroxikarbamid fick fortsätta med det läkemedlet. När behandlingen inleddes var hemoglobinnivåerna i genomsnitt 8,5 g per dl blod. Efter 24 veckors behandling hade hemoglobinnivåerna förbättrats med minst 1 g per dl hos omkring 51 procent av de patienter som fick Oxbryta i en daglig dos på 1 500 mg (46 av 90 patienter) jämfört med 6,5 procent av dem som fick placebo (6 av 92). Genom andra mätvärden kunde man också se att nedbrytningen av röda blodkroppar minskade med Oxbryta.

Vilka är riskerna med Oxbryta?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Oxbryta (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är huvudvärk, diarré och buksmärta (magont). De allvarligaste biverkningarna, som förekommer hos omkring 1 av 100 användare, är huvudvärk och (allergiska) överkänslighetsreaktioner.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Oxbryta finns i bipacksedeln.

Varför är Oxbryta godkänt i EU?

Befintliga behandlingar mot sicklecellanemi omfattar redan läkemedel som förhindrar de smärtsamma kriser som uppstår när de halvmåneformade blodkropparna blockerar blodtillförseln till vitala organ. Det finns dock ett ouppfyllt medicinskt behov av behandlingar för att hantera den anemi som är förknippad med sjukdomen och som leder till trötthet och kronisk smärta och även bidrar till andra komplikationer. Oxbryta har visats förbättra anemin genom att höja hemoglobinnivåerna och minska nedbrytningen av röda blodkroppar. Det är ännu oklart i vilken utsträckning detta kommer att förbättra de kliniska symtomen och livskvaliteten på längre sikt, eftersom läkemedlet också kan komma att minska hemoglobinetens förmåga att frisätta syre till kroppens vävnader. Med tanke på att biverkningarna tycks vara begränsade och hanterbara fann dock Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) att fördelarna med Oxbryta är större än riskerna och att Oxbryta kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Oxbryta?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Oxbryta har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Oxbryta kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Oxbryta utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Oxbryta

Mer information om Oxbryta finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta.