



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Xromi (*hydroxikarbamid*)

Sammanfattning av Xromi och varför det är godkänt inom EU

### Vad är Xromi och vad används det för?

Xromi är ett läkemedel som ges till vuxna, ungdomar och barn över nio månaders ålder som har sicklecells sjukdom, en genetisk sjukdom där de röda blodkropparna blir styva och klubbiga och förändras från att vara diskformade till halvmåneformade (som en sickel, eller skära). Xromi används för att förhindra så kallade vaso-ocklusiva komplikationer, problem som uppstår när blodkärlen täpps till av de onormala röda blodkropparna och begränsar flödet av blod till delar av kroppen.

Xromi innehåller den aktiva substansen hydroxikarbamid och är ett "hybridläkemedel". Det innebär att det liknar ett "referensläkemedel" som innehåller samma aktiva substans, men att det finns vissa skillnader mellan dem: Xromi ges som en vätska som ska sväljas i stället för som kapslar och är godkänt för olika användningar. Referensläkemedlet för Xromi är Hydrea.

### Hur används Xromi?

Läkemedlet är receptbelagt och behandling ska övervakas av hälso- och sjukvårdspersonal med erfarenhet av att behandla patienter med sicklecells sjukdom.

Xromi finns som en vätska som ska sväljas och dosen beräknas utifrån patientens kroppsvikt. Patienterna ska dricka vatten efter en dos Xromi för att se till att hela dosen når magsäcken.

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

### Hur verkar Xromi?

Den aktiva substansen i Xromi, hydroxikarbamid, blockerar tillväxten och reproduktionen av vissa celler, däribland blodkroppar. Även om det inte är helt klarlagt hur hydroxikarbamid verkar vid sicklecells sjukdom, kan det minska antalet celler som cirkulerar i blodet samt förhindra att de röda blodkropparna ändrar form hos patienter med sjukdomen. Detta minskar risken för att blodkärlen täpps till.

Hydroxikarbamid, som tidigare hette hydroxiurea, har använts i många år för att behandla sicklecells sjukdom och har i flera årtionden varit godkänt i EU-länderna som Hydrea för användning vid vissa cancertyper.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Vilka fördelar med Xromi har visats i studierna?

Eftersom hydroxikarbamid är en väletablerad substans som har använts i många år i EU, tillhandahöll företaget information från den publicerade litteraturen om fördelarna och riskerna med hydroxikarbamid vid dess godkända användningar. Detta omfattade information från fyra huvudstudier av sicklecellsjukdom, inklusive tre studier med 384 vuxna och barn som visade att hydroxikarbamid avsevärt minskar risken för allvarliga och smärtsamma stopp i blodtillförseln (s.k. vaso-occlusiva kriser) jämfört med överksam behandling, samt en fjärde studie med 121 barn som visade att hydroxikarbamid är minst lika effektivt som standardbehandling med blodtransfusioner för att minska blodkärlsskador i hjärnan och risken för stroke.

Enligt data från ytterligare en studie förväntas Xromi ha samma verkan hos barn från 9 månaders ålder som hos äldre barn. Ytterligare data från en publicerad studie tyder på att nyttan och säkerheten med hydroxikarbamid hos barn från 9 månaders ålder liknar dem hos äldre barn.

Företaget lade också fram information från en rad olika understödjande studier. Liksom för alla läkemedel omfattade dessa studier som visade att läkemedlet var av godtagbar kvalitet. Företaget har dessutom genomfört en studie som visar att Xromi är bioekvivalent med referensläkemedlet, Hydrea. Två läkemedel är bioekvivalenta när de bildar samma halter av den aktiva substansen i kroppen.

## Vilka är riskerna med Xromi?

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

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Xromi (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är benmargssuppression (minskad förmåga att framställa blodkroppar) och minskad fertilitet hos män på grund av oligospermi (lågt antal spermier) eller azospermi (avsaknad av sperma).

Xromi får inte ges till personer som har allvarliga problem med njurar eller lever, eller som har farligt lågt antal blodkroppar. Xromi får inte användas i samband med graviditet, och amning måste avbrytas medan läkemedlet tas. Xromi får inte heller ges till patienter som tar läkemedel för att behandla hivinfektion.

## Varför är Xromi godkänt i EU?

Företaget har tillhandahållit uppdaterad information som visar fördelarna med hydroxikarbamid när det gäller att förhindra komplikationer av sicklecellsjukdom hos patienter över 9 månaders ålder. Det finns god kunskap om säkerhetsfrågorna för hydroxikarbamid, och Xromi har visats vara bioekvivalent med ett godkänt hydroxikarbamidläkemedel. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Xromi är större än riskerna och att Xromi kan godkännas för försäljning i EU.

## Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Xromi?

Företaget som marknadsför Xromi kommer att förse läkare och patienter med utbildningsmaterial om korrekt användning av läkemedlet och hur man minimerar riskerna.

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

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

## **Mer information om Xromi**

Den 1 juli 2019 beviljades Xromi ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Xromi finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xromi](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/xromi).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 03-2024.