



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Oxbryta (*voxelotor*)

Información general sobre Oxbryta y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

### ¿Qué es Oxbryta y para qué se utiliza?

Oxbryta es un medicamento indicado para el tratamiento de la anemia hemolítica (descomposición excesiva de los glóbulos rojos) en pacientes a partir de 12 años con anemia falciforme. Oxbryta puede administrarse en monoterapia o en combinación con otro medicamento para la anemia falciforme denominado hidroxycarbamida.

La anemia falciforme es una enfermedad genética en la que los individuos producen una forma anormal de la hemoglobina (la proteína de los glóbulos rojos que transporta el oxígeno). Los glóbulos rojos se vuelven rígidos y pegajosos y pasan de tener forma de disco a tener forma de media luna (como una hoz). La enfermedad por anemia falciforme es «rara», y Oxbryta fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 18 de noviembre de 2016. Puede encontrar más información acerca de la designación como medicamento huérfano en:

[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1769).

Oxbryta contiene el principio activo voxelotor.

### ¿Cómo se usa Oxbryta?

Oxbryta solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento lo debe iniciar un médico con experiencia en el tratamiento de la anemia falciforme.

El medicamento se presenta en comprimidos para tomar por vía oral y la dosis habitual recomendada es de 1 500 mg una vez al día.

Para mayor información sobre el uso de Oxbryta, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

### ¿Cómo actúa Oxbryta?

En la anemia falciforme, la falciformación de los glóbulos rojos se produce cuando la hemoglobina anormal libera su oxígeno y a continuación se agrupa para formar cadenas rígidas que hacen que las células cambien de forma y se descompongan más rápidamente. Esto, además de bloquear

**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



potencialmente los vasos sanguíneos, reduce el número de glóbulos rojos y la hemoglobina funcional capaz de transportar oxígeno en el organismo. El principio activo de Oxbryta, voxelotor, actúa mejorando la capacidad de la hemoglobina para retener el oxígeno e impidiendo que forme cadenas. Esto ayuda a los glóbulos rojos a mantener su forma y flexibilidad normales, reduciendo su descomposición excesiva y mejorando su vida útil.

## **¿Qué beneficios ha demostrado tener Oxbryta en los estudios realizados?**

Se ha demostrado que Oxbryta mejora la anemia hemolítica en un estudio principal en el que participaron 247 pacientes de 12 a 64 años con anemia falciforme. A los pacientes se les administró Oxbryta o placebo (un tratamiento ficticio), así como tratamiento con hidroxycarbamida si ya lo estaban recibiendo. Al inicio del tratamiento, el nivel medio de hemoglobina era de 8,5 g por dl de sangre. Después del tratamiento durante 24 semanas, el nivel de hemoglobina había mejorado al menos 1 g por dl en el 51 % aproximadamente del grupo al que se administró Oxbryta 1 500 mg diariamente (46 de 90 pacientes) frente al 6,5 % de los que tomaron placebo (6 de 92). Otras medidas también mostraron reducciones de la descomposición de los glóbulos rojos con Oxbryta.

## **¿Cuáles son los riesgos asociados a Oxbryta?**

Los efectos adversos más frecuentes de Oxbryta (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son dolor de cabeza, diarrea y dolor abdominal. Los efectos adversos más graves, que afectan a alrededor de 1 de cada 100 personas, son dolor de cabeza y reacciones de hipersensibilidad (alérgicas).

Para consultar la lista completa de efectos adversos y restricciones de Oxbryta, ver el prospecto.

## **¿Por qué se ha autorizado Oxbryta en la UE?**

Los tratamientos actuales para la anemia falciforme incluyen ya medicamentos para prevenir las crisis dolorosas causadas cuando las células falciformes bloquean el suministro de sangre a órganos vitales. Sin embargo, existe una necesidad médica no cubierta de tratamientos para controlar la anemia asociada a la enfermedad, que provoca cansancio y dolor crónico, además de contribuir a otras complicaciones. Se ha demostrado que Oxbryta mejora la anemia aumentando los niveles de hemoglobina y reduciendo la descomposición de los glóbulos rojos. Todavía no está claro en qué medida esto mejorará los síntomas clínicos y la calidad de vida a largo plazo, ya que la acción del medicamento también puede reducir la capacidad de la hemoglobina para liberar oxígeno a los tejidos del organismo. No obstante, dado que los efectos adversos parecen ser limitados y controlables, la Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Oxbryta son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE.

## **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Oxbryta?**

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Oxbryta se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Oxbryta se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados con Oxbryta se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

## **Otra información sobre Oxbryta**

Puede encontrar información adicional sobre Oxbryta en la página web de la Agencia:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/oxbryta).