



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 октомври 2025 г.
EMA/298985/2025

ЕМА потвърждава спирането на лекарството Oxbryta за сърповидно-клетъчна болест

По-високата честота на смъртни случаи и усложнения на заболяването в последните клинични изпитвания означава, че съотношението полза/риск вече не е благоприятно

На 16 октомври 2025 г. Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на ЕМА препоръча разрешението за употреба на лекарството Oxbryta за сърповидно-клетъчна болест да остане спряно. Тази препоръка последва временните мерки, предприети от Комитета през септември 2024 г., когато лекарството беше временно спряно с цел преглед на новопостъпили данни за безопасност.

След оценката си CHMP заключи, че ползите от лекарството вече не надвишават рисковете. Преразглеждането беше започнато, след като данни показваха по-висок брой смъртни случаи при лечение с Oxbryta в сравнение с плацебо (сляпо лечение) в едно клинично изпитване¹ и по-висок от очаквания брой смъртни случаи при друго изпитване.²

В първото проучване, в което се оценява ефектът на Oxbryta при хора със сърповидно-клетъчна болест, изложени на по-висок риск от инсулт, са починали 8 деца, лекувани с Oxbryta, в сравнение с 2 деца, които са получили лечение с плацебо. Във второто проучване, в което се оценява ефектът на лекарството върху язвите на краката — известно усложнение на сърповидно-клетъчната болест — 1 човек от групата, лекувана с Oxbryta, е починал през първите 12 седмици от лечението, докато в групата на плацебо не са настъпили смъртни случаи. В следващата 12-седмична фаза на проучването, при която всички пациенти са получавали Oxbryta, са докладвани още 8 смъртни случая. Проучванията също така са показали по-голям брой епизоди на внезапна силна болка, включително вазооклузивни кризи (ВОК), при пациентите, лекувани с Oxbryta, в сравнение с тези, получавали лечение с плацебо.

На 26 септември 2024 г. CHMP препоръча спиране на разрешението за употреба като предпазна мярка, след като в две основани на регистър проучвания е установено, че пациентите са имали

¹ Global Blood Therapeutics. Фаза 3 проучване GBT440-032 при участници със сърповидно-клетъчна болест (HOPE Kids 2). IRAS ID: 242661. EudraCT Number: 2017-000903-26. REC Reference: 18/LO/0359. London - City & East Research Ethics Committee. Health Research Authority. Достъпно на: <https://www.hra.nhs.uk/planning-and-improving-research/application-summaries/research-summaries/gbtt440-032-phase-3-study-in-participants-with-sickle-cell-disease>

² Фаза 3, многоцентрово, рандомизирано, двойно слъпо, плацебо контролирано изпитване за оценка на ефикасността на вокселотор (voxelotor) при лечението на язви на краката при пациенти със сърповидно-клетъчна болест (RESOLVE). EudraCT Number: 2025-000161-87. ClinicalTrials.gov Identifier: NCT05561140. Достъпно на: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



по-висока честота на епизоди на внезапна болка при лечение с Oxbryta в сравнение с периода преди започване на лечението. По това време ЕМА предостави указания на медицинските специалисти и пациентите, като подчерта, че Oxbryta вече не трябва да се предписва и че съществуващите пациенти следва да бъдат прехвърлени към алтернативно лечение.³

Въпреки че окончателният анализ на основаните на регистър проучвания не потвърди увеличаване на епизодите на внезапна болка при употребата на Oxbryta, последните клинични изпитвания показаха повече епизоди на внезапна болка и повече смъртни случаи. Тези резултати не съответстват на резултатите от по-ранното основно клинично изпитване, подкрепило разрешаването на Oxbryta, което не е показало разлика между групите на лечение.

В преразглеждането си CHMP отбеляза, че основните механизми за увеличения брой смъртни случаи и усложнения, включително епизодите на внезапна болка, след лечение с Oxbryta в проучванията остават неясни. CHMP не установи ясно обяснение за повишените рискове и не можа да идентифицира нито мерки за ефективното им минимизиране, нито подгрупа пациенти, при които ползите от лекарството биха надвишавали рисковете. В резултат на това CHMP заключи, че съотношението полза/риск за Oxbryta вече не е благоприятно и спирането на разрешението за употреба на лекарството трябва да остане в сила. Поради това Oxbryta ще остане недостъпно за предписване на пациенти в ЕС.

При изготвянето на становището си CHMP взе предвид и консултации с експерти в областта, както и с представители на пациентите, и се консултира с Комитет за оценка на риска в областта на фармакологичната бдителност (PRAC) на ЕМА относно възможни мерки за минимизиране на риска.

Повече за лекарството

Oxbryta е разрешен за употреба през февруари 2022 г. за лечение на хемолитична анемия (прекомерно разрушаване на червените кръвни клетки) при пациенти на възраст 12 и повече години със сърповидно-клетъчна болест. Прилага се самостоятелно или заедно с друго лекарство за сърповидно-клетъчна болест, наречено хидроксикарбамид. Oxbryta съдържа активното вещество вокселотор (voxelotor).

Сърповидно-клетъчната болест е генетично заболяване, при което хората произвеждат абнормна форма на хемоглобин (белтъкът в червените кръвни клетки, който пренася кислорода). Червените кръвни клетки стават твърди и лепливи и от дисковидна придобиват формата на полумесец (подобно на сърп).

Повече за процедурата

Преразглеждането на Oxbryta започва на 29 юли 2024 г. по искане на Европейската комисия съгласно [член 20 от Регламент \(ЕО\) № 726/2004](#).

Прегледът е извършен от Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP), отговарящ за въпросите, касаещи лекарствата за хуманна употреба, който прие становището на Агенцията.

³ https://www.ema.europa.eu/en/documents/referral/oxbryta-article-20-procedure-suspension-sickle-cell-disease-medicine-oxbryta_en.pdf

Становището на CHMP е изпратено до Европейската комисия, която издава окончателно правно обвързващо решение, приложимо във всички държави — членки на ЕС, на 9 декември 2025 г.