



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. října 2025
EMA/298985/2025

Agentura EMA potvrzuje pozastavení registrace přípravku Oxbryta určeného k léčbě srpkovité anémie

Vyšší úmrtnost a míra komplikací v posledních studiích znamená, že poměr přínosů a rizik již není příznivý

Dne 16. října 2025 doporučil Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury EMA, aby registrace přípravku Oxbryta určeného k léčbě srpkovité anémie zůstala pozastavena. Toto doporučení následovalo po prozatímních opatřeních, která výbor přijal v září 2024, kdy registraci přípravku dočasně pozastavil, aby přezkoumal nové údaje o bezpečnosti.

Po přezkumu dospěl výbor CHMP k závěru, že přínosy léčivého přípravku již nepřevyšují jeho rizika. Přezkum byl zahájen poté, co z údajů vyplynulo, že při léčbě přípravkem Oxbryta došlo v jedné klinické studii¹ k vyššímu počtu úmrtí než při léčbě placebem (neúčinným přípravkem) a v jiné studii² k vyššímu počtu úmrtí, než se očekávalo.

V první studii, která hodnotila účinek přípravku Oxbryta u osob se srpkovitou anémií a vyšším rizikem cévní mozkové příhody, zemřelo 8 dětí léčených přípravkem Oxbryta ve srovnání se 2 dětmi, kterým bylo podáváno placebo. Ve druhé studii, která hodnotila účinek přípravku na bérčové vředy, což je známá komplikace srpkovité anémie, zemřela během prvních 12 týdnů léčby 1 osoba ze skupiny léčené přípravkem Oxbryta, zatímco ve skupině, které bylo podáváno placebo, k žádnému úmrtí nedošlo. V následující 12týdenní fázi studie, kdy byl přípravek Oxbryta podáván všem pacientům, bylo hlášeno dalších 8 úmrtí. Studie rovněž prokázaly vyšší počet náhlých epizod silné bolesti, včetně vazookluzivních krizí, u pacientů léčených přípravkem Oxbryta oproti pacientům, kterým bylo podáváno placebo.

Dne 26. září 2024 výbor CHMP jakožto preventivní opatření doporučil pozastavit registraci, když se objevily další údaje ze dvou studií založených na registru, z nichž vyplynulo, že pacienti při léčbě přípravkem Oxbryta zaznamenali vyšší četnost epizod náhlé bolesti než před zahájením léčby. V té době agentura EMA vydala doporučení pro zdravotnické pracovníky a pacienty, v němž uvedla, že

¹ Global Blood Therapeutics. *GBT440-032 Phase 3 Study in Participants with Sickle Cell Disease (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. Available at: <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 A Phase 3, Multicenter, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Trial to Evaluate the Efficacy of Voxelotor for the Treatment of Leg Ulcers in Patients with Sickle Cell Disease (RESOLVE). EudraCT Number: 2025-000161-87. ClinicalTrials.gov Identifier: NCT05561140. Available at: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>.



přípravek Oxbryta by se již neměl předepisovat a že stávající pacienti by měli být převedeni na alternativní léčbu³.

Ačkoli závěrečná analýza studií založených na registru nepotvrdila zvýšení počtu epizod náhlé bolesti při léčbě přípravkem Oxbryta, nedávné klinické studie větší počet epizod náhlé bolesti a úmrtí prokázaly. Tyto výsledky byly v rozporu s výsledky dřívější hlavní klinické studie, která byla podkladem registrace přípravku Oxbryta a neprokazovala rozdíl mezi léčebnými skupinami.

Výbor CHMP v rámci svého přezkumu konstatoval, že hlavní důvody zvýšeného počtu úmrtí a komplikací, včetně epizod náhlé bolesti, po léčbě přípravkem Oxbryta ve studiích zůstávají nejasné. Výbor CHMP nenalezl žádné jasné vysvětlení zvýšených rizik a nedokázal určit opatření, která by tato rizika účinně minimalizovala, ani žádnou podskupinu pacientů, u nichž by přínosy přípravku převyšovaly jeho rizika. Výbor CHMP proto dospěl k závěru, že poměr přínosů a rizik přípravku Oxbryta již není příznivý a jeho registrace by měla zůstat pozastavena. Zdravotnickí pracovníci tudíž nadále nebudou moci předepisovat přípravek Oxbryta pacientům v EU.

Při vypracovávání svého stanoviska vzal výbor CHMP v úvahu také rady odborníků na danou oblast a zástupců pacientů a konzultoval s bezpečnostním výborem agentury EMA (výborem PRAC) možná opatření k minimalizaci rizik.

Další informace o léčivém přípravku

Přípravek Oxbryta byl registrován v únoru 2022 k léčbě hemolytické anémie (nadměrného rozpadu červených krvinek) u pacientů ve věku 12 let a starších se srpkovitou anémií. Byl podáván samostatně, nebo v kombinaci s jiným léčivem na srpkovitou anémii zvaným hydroxykarbamid. Přípravek Oxbryta obsahuje léčivou látku voxelotor.

Srpkovitá anémie je genetické onemocnění, při kterém pacienti vytvářejí abnormální formu hemoglobinu (bílkoviny v červených krvinkách, která přenáší kyslík). Červené krvinky ztrácí pružnost a stávají se přilnavými a jejich tvar se mění z diskovitého na půlměsíčitý (připomíná srp).

Další informace o přezkumu

Přezkum přípravku Oxbryta byl zahájen dne 29. července 2024 na žádost Evropské komise podle [článku 20 nařízení \(ES\) č. 726/2004](#).

Přezkum provedl Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP), který se zabývá otázkami týkajícími se humánních léčivých přípravků a který přijal v této věci stanovisko agentury.

Stanovisko výboru CHMP bylo postoupeno Evropské komisi, která dne 9. prosince 2025 vydala konečné právně závazné rozhodnutí platné ve všech členských státech EU.

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