



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

4. října 2024
EMA/464087/2024

Pozastavení registrace léčivého přípravku Oxbryta určeného k léčbě srpkovité anémie

Opatření přijatá jako preventivní opatření, zatímco probíhá přezkum nových údajů

Dne 26. září 2024 doporučil Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury EMA pozastavit registraci přípravku Oxbryta (voxelotor) určeného k léčbě srpkovité anémie. Jedná se o preventivní opatření, zatímco probíhá přezkum nových údajů.

Doporučení vycházela z nových údajů týkajících se bezpečnosti ze dvou studií založených na registru, z nichž vyplynulo, že u pacientů zařazených do studií docházelo k vazookluzivním krizím během léčby přípravkem Oxbryta častěji než před zahájením léčby tímto přípravkem. Vazookluzivní krize patří mezi nejčastější komplikace srpkovité anémie. Projevují se epizodami akutní bolesti a mohou vést k dalším zdravotním komplikacím, jako je artritida, selhání ledvin a cévní mozková příhoda.

Tyto nové údaje týkající se bezpečnosti se objevily v době, kdy agentura EMA již přezkoumávala přínosy a rizika přípravku Oxbryta v rámci probíhajícího [přezkumu](#), který byl zahájen v červenci 2024. Podnětem k zahájení tohoto přezkumu byla skutečnost, že z údajů z klinické studie vyplynulo, že při léčbě přípravkem Oxbryta dochází k vyššímu počtu úmrtí než při podávání placeba (neúčinného přípravku), a že ve druhé studii byl celkový počet úmrtí vyšší, než se očekávalo.

Výbor CHMP proto dospěl k závěru, že tyto údaje celkově vyvolávají závažné obavy ohledně bezpečnosti přípravku Oxbryta. Kvůli zvýšené nejistotě proto doporučil pozastavit jeho registraci, dodávání na trh a výdej, dokud nebudou v rámci probíhajícího přezkumu posouzeny všechny dostupné údaje.

Společnost, která přípravek Oxbryta dodává na trh, se současně rozhodla stáhnout tento přípravek ze všech zemí, ve kterých je k dispozici, a ukončit probíhající klinické studie, programy, v nichž je podáván v rámci léčby z humánních důvodů, a programy včasného přístupu k němu.

Zatímco probíhá přezkum, agentura EMA doporučuje toto:

- lékaři by neměli zahajovat léčbu nových pacientů přípravkem Oxbryta,
- lékaři by měli kontaktovat pacienty, kteří jsou v současné době léčeni přípravkem Oxbryta, a ukončit jejich léčbu tímto přípravkem a probrat s nimi alternativní možnosti léčby,
- lékaři by po ukončení léčby přípravkem Oxbryta měli u pacientů nadále sledovat nežádoucí účinky,
- pacienti se musí před ukončením léčby poradit se svým lékařem,

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



- pacienti by se v případě jakýchkoli otázek měli obrátit na svého lékaře.

Zdravotnickým pracovníkům, kteří tento léčivý přípravek předepisují, vydávají nebo podávají, bude zaslán informační dopis s podrobnějšími doporučeními. Tento dopis bude zveřejněn také na [internetových stránkách agentury EMA](#).

Doporučení agentury EMA pozastavit registraci tohoto přípravku bylo předáno Evropské komisi, která dne 4. října 2024 vydala právně závazné rozhodnutí platné ve všech členských státech EU.

Agentura EMA bude pokračovat v přezkumu přípravku Oxbryta a včas vydá konečné doporučení.

Další informace o léčivém přípravku

Oxbryta je léčivý přípravek používaný k léčbě hemolytické anémie (nadměrného rozpadu červených krvinek) u pacientů ve věku 12 let a starších se srpkovitou anémií. Přípravek Oxbryta může být podáván samostatně, nebo v kombinaci s jiným léčivem na srpkovitou anémii zvaným hydroxykarbamid. 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).

Přípravku Oxbryta bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 14. února 2022.

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 provádí Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP), který je odpovědný za otázky týkající se humánních léčivých přípravků a který v této věci přijme stanovisko agentury.

Doporučení výboru CHMP pozastavit registraci přípravku Oxbryta, zatímco probíhá přezkum, bylo zasláno Evropské komisi, která dne 4. října 2024 vydala právně závazné rozhodnutí.