



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. oktober 2025
EMA/298985/2025

EMA bekræfter suspenderingen af lægemidlet Oxbryta mod seglcellesygdom

Højere dødelighed og sygdomskomplikationer i de seneste studier betyder, at benefit/risk-forholdet ikke længere er positivt

Den 16. oktober 2025 anbefalede EMA's Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at markedsføringstilladelsen for lægemidlet Oxbryta mod seglcellesygdom forbliver suspenderet. Denne anbefaling fulgte efter de midlertidige foranstaltninger, som udvalget traf i september 2024, hvor det midlertidigt suspendede lægemidlet for at gennemgå nye sikkerhedsdata.

Efter sin vurdering konkluderede CHMP, at fordelene ved lægemidlet ikke længere opvejer risiciene. Gennemgangen blev indledt, efter at data viste et højere antal dødsfald med Oxbryta end med placebo (en uvirksom behandling) i ét klinisk forsøg¹ og et højere antal dødsfald end forventet i et andet forsøg.²

I det første studie, der vurderede virkningen af Oxbryta hos personer med seglcellesygdom, som havde forhøjet risiko for slagtilfælde, døde 8 børn, der blev behandlet med Oxbryta, sammenlignet med 2 børn, der fik placebobehandling. I det andet studie, der evaluerede lægemidlets virkning på bensår, en kendt komplikation af seglcellesygdom, døde 1 person i Oxbryta-gruppen i løbet af de første 12 ugers behandling, mens der ikke forekom dødsfald i placebogruppen. I den følgende 12-ugers fase af studiet, hvor alle patienter fik Oxbryta, blev der indberettet 8 yderligere dødsfald. Studierne viste også et højere antal pludselige episoder med svære smerter, herunder vasookklusive kriser (VOC'er), blandt de patienter, der blev behandlet med Oxbryta, end blandt dem, der fik placebo.

Den 26. september 2024 anbefalede CHMP at suspendere markedsføringstilladelsen som en forsigtighedsforanstaltning, da der fremkom yderligere data fra to registerbaserede studier, der viste, at patienterne oplevede en større hyppighed af pludselige smerteepisoder med Oxbryta end før påbegyndelse af behandlingen. På daværende tidspunkt udsendte EMA en vejledning til

¹ Global Blood Therapeutics. *GBT440-032 Phase 3 Study in Participants with Sickle Cell Disease (HOPE Kids 2)* (fase 3-studie blandt forsøgspersoner med seglcellesygdom (HOPE Kids 2)). IRAS-ID: 242661. EudraCT-nummer: 2017-000903-26. REC-reference: 18/LO/0359. London – City & East Research Ethics Committee. Health Research Authority. Tilgængeligt på: <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) (et randomiseret, dobbeltblindet, placebokontrolleret fase 3-forsøg på flere centre til evaluering af effektiviteten af voxelotor til behandling af bensår hos patienter med seglcellesygdom (RESOLVE)). EudraCT-nummer: 2025-000161-87. ClinicalTrials.gov Identifier: NCT05561140. Tilgængeligt på: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



sundhedspersoner og patienter, hvor det blev fremhævet, at Oxbryta ikke længere burde ordineres, og at eksisterende patienter burde skifte til en anden behandling.³

Selv om den endelige analyse af registerstudierne ikke bekræftede en stigning i pludselige smerteepisoder med Oxbryta, viste de seneste kliniske forsøg flere pludselige smerteepisoder og dødsfald. Disse resultater var ikke i overensstemmelse med resultaterne af det tidligere kliniske hovedforsøg, der lå til grund for Oxbrytas godkendelse, og som ikke havde vist nogen forskel mellem behandlingsgrupperne.

I sin gennemgang bemærkede CHMP, at de underliggende mekanismer for det øgede antal dødsfald og komplikationer, herunder pludselige smerteepisoder, efter behandling med Oxbryta i studierne fortsat er uklare. CHMP fandt ingen klar forklaring på de øgede risici og kunne ikke identificere foranstaltninger til effektivt at minimere disse risici, eller nogen undergruppe af patienter, for hvem fordelene ved lægemidlet ville opveje risiciene. På denne baggrund konkluderede CHMP, at benefit/risk-forholdet for Oxbryta ikke længere er positivt, og at suspensionen af lægemidlets markedsføringstilladelse fortsat bør gælde. Oxbryta vil derfor fortsat ikke være tilgængeligt for sundhedspersoner, der ordinerer lægemidlet til patienter i EU.

I sin udtalelse tog CHMP også hensyn til råd fra eksperter på området samt fra patientrepræsentanter og hørte EMA's sikkerhedsudvalg (PRAC) om potentielle risikominimeringsforanstaltninger.

Yderligere information om lægemidlet

Oxbryta blev godkendt i februar 2022 til behandling af hæmolytisk anæmi (for stor nedbrydning af røde blodlegemer) hos patienter i alderen 12 år og derover med seglcellesygdom. Det blev givet alene eller sammen med et andet lægemiddel mod seglcellesygdom kaldet hydroxycarbamid. Oxbryta indeholder det aktive stof voxelotor.

Seglcellesygdom er en genetisk sygdom, hvor en person producerer en unormal form for hæmoglobin (proteinet i røde blodlegemer, som transporterer ilt). De røde blodlegemer bliver stive og klæbrige og ændrer sig fra at være skiveformede til at være halvmåneformede (som et segl).

Yderligere oplysninger om proceduren

Gennemgangen af Oxbryta blev indledt den 29. juli 2024 på anmodning af Europa-Kommissionen i henhold til [artikel 20 i forordning \(EF\) nr. 726/2004](#).

Gennemgangen blev foretaget af Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), der er ansvarligt for spørgsmål vedrørende lægemidler til mennesker, og det vedtog agenturets udtalelse.

CHMP's udtalelse blev fremsendt til Europa-Kommissionen, der traf en endelig juridisk bindende afgørelse med gyldighed i alle EU's medlemsstater den 9. december 2025.

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