



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. Oktober 2025
EMA/298985/2025

EMA bestätigt Aussetzung des Arzneimittels Oxbryta zur Behandlung der Sichelzellkrankheit

Höhere Sterberate und mehr Komplikationen der Erkrankung in jüngsten Studien bedeuten, dass das Nutzen-Risiko-Verhältnis nicht mehr positiv ist

Am 16. Oktober 2025 empfahl der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der EMA, dass die Genehmigung für das Inverkehrbringen des Arzneimittels Oxbryta zur Behandlung der Sichelzellkrankheit weiterhin ausgesetzt bleibt. Diese Empfehlung erfolgte im Anschluss an vorläufige Maßnahmen, die der Ausschuss im September 2024 ergriffen hatte, als er das Arzneimittel vorübergehend aussetzte, um neue Sicherheitsdaten zu überprüfen.

Nach seiner Beurteilung gelangte der CHMP zu dem Schluss, dass der Nutzen des Arzneimittels gegenüber den Risiken nicht mehr überwiegt. Die Überprüfung wurde eingeleitet, nachdem die Daten in einer klinischen Studie¹ eine höhere Anzahl von Todesfällen unter Oxbryta als unter Placebo (einer Scheinbehandlung) und in einer anderen Studie eine höhere als erwartete Anzahl von Todesfällen zeigten.²

In der ersten Studie, in der die Wirkung von Oxbryta bei Personen mit Sichelzellkrankheit, bei denen das Schlaganfallrisiko erhöht war, bewertet wurde, starben 8 mit Oxbryta behandelte Kinder, verglichen mit 2 Kindern, die eine Placebo-Behandlung erhielten. In der zweiten Studie, in der die Wirkung des Arzneimittels auf Beingeschwüre, eine bekannte Komplikation der Sichelzellkrankheit, untersucht wurde, starb 1 Person in der Oxbryta-Gruppe während der ersten 12 Behandlungswochen, während in der Placebo-Gruppe keine Todesfälle auftraten. In der folgenden 12-wöchigen Phase der Studie, in der alle Patienten Oxbryta erhielten, wurden 8 zusätzliche Todesfälle gemeldet. Die Studien zeigten bei Patienten, die mit Oxbryta behandelt wurden, außerdem eine höhere Zahl plötzlicher Episoden starker Schmerzen (einschließlich vasookklusiver Krisen [VOC]) als bei Patienten, die Placebo erhielten.

Am 26. September 2024 empfahl der CHMP die Aussetzung der Genehmigung für das Inverkehrbringen als Vorsichtsmaßnahme; zu diesem Zeitpunkt traten weitere Daten aus zwei Registerstudien zutage,

¹ Global Blood Therapeutics. *GBT440-032 Phase 3 Study in Participants with Sickle Cell Disease (HOPE Kids 2)*. IRAS-ID: 242661. EudraCT-Nummer: 2017-000903-26. REC-Referenz: 18/LO/0359. London – City & East Research Ethics Committee. Health Research Authority. Aufrufbar unter: <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, Randomised, 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-Nummer: 2025-000161-87. ClinicalTrials.gov-Identifikator: NCT05561140. Aufrufbar unter: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



die darauf hindeuteten, dass Patienten im Zusammenhang mit Oxbryta häufiger plötzliche Schmerzepisoden erlitten als vor Beginn der Behandlung. Damals beriet die EMA Angehörige der Gesundheitsberufe und Patienten und betonte, dass Oxbryta nicht mehr verschrieben werden sollte und dass bestehende Patienten auf eine alternative Behandlung umgestellt werden sollten.³

Obwohl die abschließende Analyse der Registerstudien keinen Anstieg plötzlicher Schmerzepisoden im Zusammenhang mit Oxbryta bestätigte, zeigten die jüngsten klinischen Studien weitere plötzliche Schmerzepisoden und Todesfälle. Diese Ergebnisse stimmten nicht mit denen der früheren klinischen Hauptstudie überein, die die Zulassung von Oxbryta stützte und bei der kein Unterschied zwischen den Behandlungsgruppen festgestellt worden war.

Bei seiner Überprüfung stellte der CHMP fest, dass die zugrunde liegenden Mechanismen für die erhöhte Zahl von Todesfällen und Komplikationen, einschließlich plötzlicher Schmerzepisoden, nach der Behandlung mit Oxbryta in den Studien nach wie vor unklar sind. Der CHMP fand keine eindeutige Erklärung für die erhöhten Risiken und konnte keine Maßnahmen zur wirksamen Minimierung dieser Risiken bzw. keine Patientenuntergruppen ermitteln, bei denen der Nutzen des Arzneimittels gegenüber den Risiken überwiegt. Daher gelangte der CHMP zu dem Schluss, dass das Nutzen-Risiko-Verhältnis von Oxbryta nicht mehr positiv ist und die Aussetzung der Genehmigung für das Inverkehrbringen des Arzneimittels aufrechterhalten werden sollte. Oxbryta wird daher Angehörigen der Heilberufe nicht mehr zur Verschreibung für Patienten in der EU zur Verfügung stehen.

Bei der Erarbeitung seines Gutachtens berücksichtigte der CHMP auch die Empfehlungen von Experten auf diesem Gebiet sowie von Patientenvertretern und konsultierte den Sicherheitsausschuss der EMA (PRAC) in Bezug auf mögliche Maßnahmen zur Risikominimierung.

Weitere Informationen über das Arzneimittel

Oxbryta wurde im Februar 2022 zur Behandlung hämolytischer Anämie (übermäßiger Abbau roter Blutkörperchen) bei Patienten ab 12 Jahren mit Sichelzellerkrankung zugelassen. Es wurde allein oder zusammen mit einem anderen Arzneimittel, dem sogenannten Hydroxycarbamid, zur Behandlung der Sichelzellerkrankung angewendet. Oxbryta enthält den Wirkstoff Voxelotor.

Die Sichelzellerkrankung ist eine genetische Erkrankung, bei der Personen eine abnorme Form von Hämoglobin (das Protein in den roten Blutkörperchen, das Sauerstoff transportiert) produzieren. Die roten Blutkörperchen werden starr und klebrig und verändern sich von scheiben- zu halbmondförmig (wie eine Sichel).

Weitere Informationen zum Verfahren

Die Überprüfung von Oxbryta wurde am 29. Juli 2024 auf Ersuchen der Europäischen Kommission gemäß [Artikel 20 der Verordnung \(EG\) Nr. 726/2004](#) eingeleitet.

Die Überprüfung wurde vom Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP), der für Fragen im Zusammenhang mit Humanarzneimitteln verantwortlich ist, durchgeführt; der CHMP nahm das Gutachten der Agentur an.

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

Das Gutachten des CHMP wurde an die Europäische Kommission weitergeleitet, die am 9. Dezember 2025 eine abschließende, in allen EU-Mitgliedstaaten rechtsverbindliche Entscheidung erließ.