



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

4. Oktober 2024
EMA/464087/2024

Aussetzung des Arzneimittels Oxbryta zur Behandlung der Sichelzellanämie

Vorsichtsmaßnahme während der laufenden Überprüfung neuer verfügbarer Daten

Am 26. September 2024 empfahl der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der EMA die Aussetzung der Genehmigung für das Inverkehrbringen des Arzneimittels Oxbryta (Voxelotor) zur Behandlung der Sichelzellanämie; dabei handelt es sich um eine Vorsichtsmaßnahme, solange die Überprüfung neuer verfügbarer Daten nicht abgeschlossen ist.

Die Empfehlung erfolgte, nachdem sich neue Sicherheitsdaten aus zwei registerbasierten Studien ergaben, die darauf hindeuteten, dass Patienten in den Studien während der Behandlung mit Oxbryta ein höheres Auftreten von vasookklusiven Krisen (VOC) aufwiesen als vor der Behandlung mit dem Arzneimittel. Vasookklusive Krisen gehören zu den häufigsten Komplikationen bei Sichelzellanämie; sie sind mit Episoden akuter Schmerzen verbunden und können zu weiteren gesundheitlichen Komplikationen wie Arthritis, Nierenversagen und Schlaganfall führen.

Diese neuen Sicherheitsdaten ergaben sich, während die EMA den Nutzen und die Risiken von Oxbryta im Rahmen einer laufenden [Überprüfung](#) überprüfte, die im Juli 2024 eingeleitet worden war. Dies wurde ausgelöst, als Daten aus einer klinischen Prüfung zeigten, dass die Zahl der Todesfälle mit Oxbryta höher war als mit Placebo (Scheinbehandlung), und eine weitere Prüfung ergab, dass die Gesamtzahl der Todesfälle höher war als erwartet.

Daher war der CHMP der Auffassung, dass diese Daten im Allgemeinen schwere Bedenken hinsichtlich der Sicherheit von Oxbryta aufwerfen; aufgrund der zusätzlichen Unsicherheiten empfahl er daher, die Genehmigung für das Inverkehrbringen und die Lieferung des Arzneimittels auszusetzen, bis alle verfügbaren Daten im Rahmen der laufenden Überprüfung bewertet wurden.

Parallel dazu hat das Unternehmen, das Oxbryta in Verkehr bringt, beschlossen, das Arzneimittel aus allen Ländern, in denen es erhältlich ist, zurückzunehmen und zurückzurufen sowie laufende klinische Studien, „Compassionate-Use“-Programme und Programme für den frühzeitigen Zugang einzustellen.

Solange die Überprüfung nicht abgeschlossen ist, empfiehlt die EMA Folgendes:

- Ärzte sollten Oxbryta keinen neuen Patienten verschreiben;
- Ärzte sollten die Patienten kontaktieren, die derzeit mit Oxbryta behandelt werden, um die Behandlung zu beenden und alternative Behandlungsoptionen zu besprechen;



- Ärzte sollten die Patienten nach Beendigung der Behandlung mit Oxbryta weiterhin auf unerwünschte Ereignisse überwachen;
- Patienten müssen mit ihrem Arzt sprechen, bevor sie ihr Arzneimittel absetzen;
- Patienten sollten sich an ihren Arzt wenden, wenn sie Fragen haben.

Ausführlichere Empfehlungen werden den Angehörigen der Gesundheitsberufe, die das Arzneimittel verschreiben, ausgeben oder verabreichen, in einer direkten Mitteilung an das zuständige medizinische Fachpersonal (DHPC) übermittelt. Die DHPC wird ebenfalls auf der [Website der EMA](#) veröffentlicht.

Die Empfehlung der EMA zur Aussetzung wurde an die Europäische Kommission weitergeleitet, die am 4. Oktober 2024 eine rechtsverbindliche Entscheidung erließ, die in allen EU-Mitgliedstaaten gilt.

Die EMA wird ihre Überprüfung von Oxbryta fortsetzen und zu gegebener Zeit eine endgültige Empfehlung herausgeben.

Weitere Informationen über das Arzneimittel

Oxbryta ist ein Arzneimittel zur Behandlung hämolytischer Anämie (übermäßiger Abbau roter Blutkörperchen) bei Patienten ab 12 Jahren mit Sichelzellanämie. Oxbryta kann allein oder zusammen mit einem anderen Arzneimittel, dem sogenannten Hydroxycarbamid, zur Behandlung der Sichelzellkrankheit angewendet werden. Es enthält den Wirkstoff Voxelotor.

Die Sichelzellkrankheit 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).

Am 14. Februar 2022 erhielt Oxbryta eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

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 wird vom Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) durchgeführt, der für Fragen im Zusammenhang mit Humanarzneimitteln zuständig ist und das Gutachten der Agentur annehmen wird.

Die Empfehlung des CHMP, Oxbryta während der laufenden Überprüfung auszusetzen, wurde an die Europäische Kommission weitergeleitet, die am 4. Oktober 2024 eine rechtsverbindliche Entscheidung erließ.