



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 Οκτωβρίου 2025
EMA/298985/2025

Ο ΕΜΑ επιβεβαιώνει την αναστολή της κυκλοφορίας του φαρμάκου Oxbryta για τη δρεπανοκυτταρική νόσο

Το υψηλότερο ποσοστό θανάτου και επιπλοκών της νόσου σε πρόσφατες δοκιμές σημαίνει ότι η σχέση οφέλους-κινδύνου δεν είναι πλέον ευνοϊκή

Στις 16 Οκτωβρίου 2025, η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του ΕΜΑ εισηγήθηκε τη διατήρηση της αναστολής της άδειας κυκλοφορίας του φαρμάκου Oxbryta για τη δρεπανοκυτταρική νόσο. Η σύσταση αυτή αποτελεί συνέχεια των προσωρινών μέτρων που έλαβε η επιτροπή τον Σεπτέμβριο του 2024, όταν ανέστειλε προσωρινά το φάρμακο για την επανεξέταση των αναδυόμενων δεδομένων σχετικά με την ασφάλεια.

Μετά την αξιολόγηση που διενήργησε, η CHMP κατέληξε στο συμπέρασμα ότι τα οφέλη του φαρμάκου δεν υπερτερούν πλέον των κινδύνων που συνδέονται με αυτό. Η επανεξέταση ξεκίνησε αφού τα δεδομένα κατέδειξαν μεγαλύτερο αριθμό θανάτων με το Oxbryta από ό,τι με το εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) σε μία κλινική δοκιμή¹ και υψηλότερο από τον αναμενόμενο αριθμό θανάτων σε άλλη δοκιμή.²

Στην πρώτη μελέτη, στην οποία αξιολογήθηκε η επίδραση του Oxbryta σε άτομα με δρεπανοκυτταρική νόσο, τα οποία διέτρεχαν υψηλότερο κίνδυνο εγκεφαλικού επεισοδίου, απεβίωσαν 8 παιδιά που έλαβαν θεραπεία με Oxbryta, σε σύγκριση με 2 παιδιά που έλαβαν εικονική θεραπεία. Στη δεύτερη μελέτη, στην οποία αξιολογήθηκε η επίδραση του φαρμάκου σε έλκη των κάτω άκρων, μια γνωστή επιπλοκή της δρεπανοκυτταρικής νόσου, ένα άτομο από την ομάδα του Oxbryta απεβίωσε κατά τη διάρκεια των πρώτων 12 εβδομάδων θεραπείας, ενώ δεν υπήρξαν θάνατοι στην ομάδα του εικονικού φαρμάκου. Στην επόμενη φάση 12 εβδομάδων της μελέτης, κατά την οποία όλοι οι ασθενείς έλαβαν Oxbryta, αναφέρθηκαν 8 επιπλέον θάνατοι. Οι μελέτες κατέδειξαν επίσης υψηλότερο αριθμό αιφνίδιων επεισοδίων σοβαρού πόνου, συμπεριλαμβανομένων των αγγειοαποφρακτικών κρίσεων, στους ασθενείς που έλαβαν θεραπεία με Oxbryta σε σύγκριση με τους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο.

Στις 26 Σεπτεμβρίου 2024, καθώς προέκυψαν περαιτέρω δεδομένα από δύο μελέτες βάσει μητρώου, σύμφωνα με τα οποία οι ασθενείς εμφάνισαν υψηλότερη συχνότητα επεισοδίων αιφνίδιου πόνου με το

¹ Global Blood Therapeutics. *GBT440-032 Phase 3 Study in Participants with Sickle Cell Disease (HOPE Kids)*. IRAS ID: 242661. Αριθμός EudraCT: 2017-000903-26. Κωδικός REC: 18/LO/0359. London - City & East Research Ethics Committee. Health Research Authority. Διατίθενται στην ακόλουθη διεύθυνση: <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). Αριθμός EudraCT: 2025-000161-87. ClinicalTrials.gov Identifier: NCT05561140. Διατίθενται στην ακόλουθη διεύθυνση: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



Oxbryta απ' ό,τι πριν από την έναρξη της θεραπείας, η CHMP εισηγήθηκε ως προληπτικό μέτρο την αναστολή της άδειας κυκλοφορίας. Την περίοδο εκείνη, ο EMA παρείχε συμβουλές σε επαγγελματίες του τομέα της υγείας και σε ασθενείς, τονίζοντας ότι το Oxbryta δεν θα πρέπει πλέον να συνταγογραφείται και ότι οι υφιστάμενοι ασθενείς θα πρέπει να στραφούν σε εναλλακτική θεραπεία.³

Μολονότι η τελική ανάλυση των μελετών μητρώου δεν επιβεβαίωσε αύξηση των επεισοδίων αιφνίδιου πόνου με το Oxbryta, οι πρόσφατες κλινικές δοκιμές κατέδειξαν περισσότερα επεισόδια αιφνίδιου πόνου και θανάτους. Τα αποτελέσματα αυτά δεν συμφωνούσαν με εκείνα της προηγούμενης κύριας κλινικής δοκιμής που υποστήριξε την έγκριση του Oxbryta, η οποία δεν είχε καταδείξει διαφορά μεταξύ των ομάδων θεραπείας.

Κατά την επανεξέταση, η CHMP επισήμανε ότι οι υποκείμενοι μηχανισμοί για τον αυξημένο αριθμό θανάτων και επιπλοκών, συμπεριλαμβανομένων των επεισοδίων αιφνίδιου πόνου, στο πλαίσιο των μελετών της θεραπείας με το Oxbryta παραμένουν ασαφείς. Η CHMP δεν εντόπισε σαφή εξήγηση για τους αυξημένους κινδύνους και δεν μπόρεσε να προσδιορίσει μέτρα για την αποτελεσματική ελαχιστοποίηση των κινδύνων αυτών ή κάποια υποομάδα ασθενών για τους οποίους τα οφέλη του φαρμάκου υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό. Ως εκ τούτου, η CHMP κατέληξε στο συμπέρασμα ότι η σχέση οφέλους-κινδύνου του Oxbryta δεν είναι πλέον ευνοϊκή και ότι η αναστολή της άδειας κυκλοφορίας του φαρμάκου θα πρέπει να παραμείνει σε ισχύ. Συνεπώς, το Oxbryta θα συνεχίσει να μην διατίθεται προς συνταγογράφηση από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας σε ασθενείς στην ΕΕ.

Για τη διατύπωση της γνώμης της, η CHMP έλαβε επίσης υπόψη τις συμβουλές εμπειρογνομόνων του τομέα, καθώς και εκπροσώπων των ασθενών, ζήτησε δε και τη γνώμη της επιτροπής ασφάλειας (PRAC) του EMA σχετικά με πιθανά μέτρα ελαχιστοποίησης του κινδύνου.

Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με το φάρμακο

Το Oxbryta εγκρίθηκε τον Φεβρουάριο του 2022 για τη θεραπεία της αιμολυτικής αναιμίας (υπερβολική διάσπαση των ερυθρών αιμοσφαιρίων) σε ασθενείς ηλικίας 12 ετών και άνω που πάσχουν από δρεπανοκυτταρική νόσο. Χορηγήθηκε ως μονοθεραπεία ή σε συνδυασμό με ένα άλλο φάρμακο για τη δρεπανοκυτταρική νόσο, το οποίο ονομάζεται υδροξυκαρβαμίδη. Το Oxbryta περιέχει τη δραστική ουσία βοξελοτόρη.

Η δρεπανοκυτταρική νόσος είναι γενετική νόσος κατά την οποία τα άτομα παράγουν μια μη φυσιολογική μορφή αιμοσφαιρίνης (η πρωτεΐνη των ερυθρών αιμοσφαιρίων που μεταφέρει οξυγόνο). Τα ερυθρά αιμοσφαίρια καθίστανται άκαμπτα και κολλώδη και το σχήμα τους μεταβάλλεται από δισκοειδές σε μηνοειδές (μοιάζει με σχήμα δρεπανιού)

Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη διαδικασία

Η επανεξέταση του Oxbryta ξεκίνησε στις 29 Ιουλίου 2024 κατόπιν αιτήματος της Ευρωπαϊκής Επιτροπής, δυνάμει [του άρθρου 20 του κανονισμού \(ΕΚ\) αριθ. 726/2004](#).

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

Η επανεξέταση πραγματοποιήθηκε από την Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP), η οποία είναι αρμόδια για κάθε ζήτημα σχετικά με φάρμακα για ανθρώπινη χρήση και ενέκρινε τη γνώμη του Οργανισμού.

Η γνώμη της CHMP διαβιβάστηκε στην Ευρωπαϊκή Επιτροπή, η οποία στις 9 Δεκεμβρίου 2025 εξέδωσε οριστική και νομικά δεσμευτική απόφαση που ισχύει σε όλα τα κράτη μέλη της ΕΕ.