



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 de octubre de 2025
EMA/298985/2025

La EMA confirma la suspensión del medicamento para la anemia falciforme Oxbryta

Una mayor tasa de mortalidad y complicaciones de la enfermedad en ensayos recientes significa que la relación riesgo/beneficio ya no es favorable.

El 16 de octubre de 2025, el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la EMA recomendó que se mantuviera la suspensión de la autorización de comercialización del medicamento Oxbryta para la anemia falciforme. Esta recomendación se adoptó a raíz de las medidas provisionales adoptadas por el Comité en septiembre de 2024, cuando suspendió temporalmente el medicamento para revisar los datos de seguridad emergentes.

Tras su evaluación, el CHMP concluyó que los beneficios del medicamento ya no superan a los riesgos. La revisión se inició después de que los datos mostraran un mayor número de muertes con Oxbryta que con placebo (un tratamiento ficticio) en un ensayo clínico¹ y un número de muertes superior al previsto en otro ensayo².

En el primer estudio, en el que se evaluó el efecto de Oxbryta en personas con anemia falciforme expuestas a un mayor riesgo de accidente cerebrovascular, fallecieron 8 niños tratados con Oxbryta, en comparación con 2 niños que recibieron un tratamiento con placebo. En el segundo estudio, en el que se evaluó el efecto del medicamento sobre las úlceras en las piernas, una complicación conocida de la anemia falciforme, 1 persona murió en el grupo de Oxbryta durante las primeras 12 semanas de tratamiento, mientras que no se produjeron muertes en el grupo de placebo. En la siguiente fase del estudio, de 12 semanas de duración, en la que todos los pacientes recibieron Oxbryta, se notificaron 8 muertes adicionales. Los estudios también mostraron un mayor número de episodios repentinos de dolor intenso, incluidas crisis vasooclusivas (CVO), entre los pacientes tratados con Oxbryta en comparación con los que recibieron placebo.

¹ Global Blood Therapeutics. *GBT440-032 Phase 3 Study in Participants with Sickle Cell Disease (HOPE Kids 2)* [«GBT440-032 Estudio de fase III en participantes con anemia falciforme (Hope Kids 2)»]. ID de IRAS: 242661. Número de EudraCT: 2017-000903-26. Referencia de la REC: 18/LO/0359. London - City & East Research Ethics Committee. Health Research Authority. Disponible en: <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) [«Ensayo de fase III multicéntrico, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo para evaluar la eficacia de Voxelotor en el tratamiento de las úlceras de las piernas en pacientes con anemia falciforme (RESOLVE)»]. Número de EudraCT: 2025-000161-87. Identificador de ClinicalTrials.gov: NCT05561140. Disponible en: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



El 26 de septiembre de 2024, el CHMP recomendó suspender la autorización de comercialización como medida de precaución cuando surgieron datos adicionales de dos estudios basados en el registro, que indicaban que los pacientes experimentaron una mayor frecuencia de episodios de dolor repentino con Oxbryta que antes de iniciar el tratamiento. En aquel momento, la EMA asesoró a los profesionales sanitarios y a los pacientes, destacando que Oxbryta ya no debía recetarse y que los pacientes existentes debían pasar a un tratamiento alternativo³.

Aunque el análisis final de los estudios de registro no confirmó un aumento de los episodios de dolor repentino con Oxbryta, los ensayos clínicos recientes sí mostraron episodios de dolor repentino y muertes. Estos resultados no eran coherentes con los del ensayo clínico principal anterior que respaldó la autorización de Oxbryta, que no había demostrado ninguna diferencia entre grupos de tratamiento.

En su revisión, el CHMP señaló que los mecanismos subyacentes al aumento del número de muertes y complicaciones, incluidos los episodios de dolor repentino, tras el tratamiento con Oxbryta en los estudios siguen sin estar claros. El CHMP no encontró una explicación clara del aumento de los riesgos y no pudo identificar medidas para minimizar eficazmente estos riesgos ni ningún subgrupo de pacientes en los que los beneficios del medicamento fueran mayores que sus riesgos. En consecuencia, el CHMP concluyó que la relación riesgo/beneficio de Oxbryta ya no es favorable y que debe mantenerse la suspensión de la autorización de comercialización del medicamento. Por tanto, Oxbryta seguirá sin estar disponible para que los profesionales sanitarios lo receten a los pacientes en la UE.

Para emitir su dictamen, el CHMP también tuvo en cuenta el asesoramiento de expertos en la materia, así como de representantes de los pacientes, y consultó al comité de seguridad de la EMA (PRAC) sobre posibles medidas de minimización de riesgos.

Información adicional sobre el medicamento

Oxbryta fue autorizado en febrero de 2022 para tratar la anemia hemolítica (una descomposición excesiva de los glóbulos rojos) en pacientes de 12 años o más que padecen anemia falciforme. Se administró en monoterapia o junto con otro medicamento para la anemia falciforme denominado hidroxycarbamida. Oxbryta contiene el principio activo voxelotor.

La anemia falciforme es una enfermedad genética en la que los individuos producen una forma anormal de la hemoglobina (la proteína de los glóbulos rojos que transporta el oxígeno). Los glóbulos rojos se vuelven rígidos y pegajosos, y pasan de tener forma de disco a tener forma de media luna (como una hoz).

Más información sobre el procedimiento

La revisión de Oxbryta se inició el 29 de julio de 2024 a petición de la Comisión Europea, de conformidad con el [artículo 20 del Reglamento \(CE\) n.º 726/2004](#).

Dicha evaluación corrió a cargo del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP), responsable de los aspectos relacionados con los medicamentos para uso en seres humanos, que adoptó el dictamen de la Agencia.

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

El dictamen del CHMP se remitió a la Comisión Europea, que emitió una decisión definitiva jurídicamente vinculante aplicable en todos los Estados miembros de la UE el 9 de diciembre de 2025.