



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. lokakuuta 2025
EMA/298985/2025

Euroopan lääkevirasto vahvistaa sirppisolutaudin hoitoon tarkoitetun Oxbryta-lääkevalmisteen myyntiluvan väliaikaisen peruuttamisen

Kuolemantapausten ja komplikaatioiden määrän kasvu viimeaikaisissa tutkimuksissa merkitsee sitä, että hyöty-riskisuhde ei ole enää suotuista

Euroopan lääkeviraston ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevä komitea (CHMP) suositteli 16. lokakuuta 2025, että sirppisolutaudin hoitoon tarkoitetun Oxbryta-lääkevalmisteen myyntiluvan väliaikainen peruuttaminen pysyy voimassa. Suositus oli jatkoa komitean varotoimenä syyskuussa 2024 toteuttamalle toimenpiteelle, kun se peruutti lääkevalmisteen myyntiluvan väliaikaisesti uusien turvallisuustietojen arvioimiseksi.

Tehdyn arvioinnin perusteella komitea katsoi, että lääkevalmisteen hyödyt eivät enää ole riskejä suuremmat. Arviointi aloitettiin sen jälkeen, kun tiedot osoittivat, että yhdessä kliinisessä tutkimuksessa¹ Oxbrytaa saaneiden ryhmässä ilmeni enemmän kuolemantapauksia kuin lumeryhmässä ja että toisessa tutkimuksessa² kuolemantapausten kokonaismäärä oli ennakoitua suurempi.

Ensimmäisessä tutkimuksessa, jossa arvioitiin Oxbrytan vaikutusta potilailla, joilla on sirppisolutauti ja joilla oli suurentunut aivohalvauksen riski, kahdeksan Oxbrytaa saanutta lasta kuoli, kun lumelääkettä saaneita lapsia kuoli kaksi. Toisessa tutkimuksessa, jossa arvioitiin lääkevalmisteen vaikutusta jalkojen haavaumiin, jotka ovat sirppisolutaudin tunnettu komplikaatio, yksi henkilö kuoli Oxbryta-ryhmässä ensimmäisen 12 viikon hoitojakson aikana, kun taas lumeryhmässä ei ollut kuolemia. Tutkimuksen seuraavassa 12 viikon jaksossa, jossa kaikki potilaat saivat Oxbrytaa, ilmoitettiin kahdeksasta uudesta kuolemantapauksesta. Tutkimukset osoittivat lisäksi, että Oxbrytaa saaneilla potilailla esiintyi enemmän voimakkaita äkillisiä kipukohtauksia, myös vazo-okklusiivisia kriisejä (VOC), kuin lumelääkettä saaneilla.

Ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevä komitea suositteli 26. syyskuuta 2024 myyntiluvan peruuttamista väliaikaisesti varotoimenä, kun kahdesta rekisteritutkimuksesta saatiin uusia tietoja,

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



jotka osoittivat, että Oxbrytaa saaneilla potilailla esiintyi enemmän äkillisiä kipukohtauksia kuin ennen hoidon aloittamista. Tuolloin Euroopan lääkevirasto antoi terveydenhuollon ammattilaisille ja potilaille suosituksen, että Oxbryta-lääkitystä ei pidä enää aloittaa uusilla potilailla ja että Oxbryta-hoitoa jo saavien potilaiden kohdalla on siirryttävä vaihtoehtoiseen hoitoon.³

Rekisteritutkimusten lopullinen analyysi ei vahvistanut Oxbrytaa saaneiden potilaiden äkillisten kipukohtausten määrän lisääntymistä, mutta viimeaikaiset kliiniset tutkimukset osoittivat äkillisten kipukohtausten ja kuolemantapausten lisääntyneen. Tulokset eivät olleet johdonmukaisia Oxbrytan myyntiluvan perusteena olleen aiemman kliinisen päätutkimuksen tulosten kanssa, jotka eivät osoittaneet eroa hoitoryhmien välillä.

Ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevä komitea totesi arviossaan, että Oxbryta-hoitoon liittyvien kuolemantapausten ja komplikaatioiden, myös äkillisten kipukohtausten, määrän lisääntymisen taustalla olevat mekanismit ovat tutkimuksissa edelleen epäselvät. Komitea ei havainnut selkeää selitystä suurentuneille riskeille eikä pystynyt yksilöimään toimenpiteitä, joilla riskit voitaisiin minimoida tehokkaasti, eikä potilaiden alaryhmiä, joilla lääkeaineen hyödyt olisivat riskejä suuremmat. Siksi komitea katsoi, että Oxbrytan hyöty-riskisuhde ei ole enää suotuisa ja että lääkevalmisteen myyntiluvan väliaikainen peruuttaminen olisi pidettävä voimassa. Terveydenhuollon ammattilaiset eivät voi näin ollen määrätä Oxbrytaa potilaille EU:ssa.

Ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevä komitea otti lausuntoa laatiessaan huomioon myös alan asiantuntijoiden ja potilaiden edustajien neuvot ja kuuli Euroopan lääkeviraston lääketurvallisuuden riskinarviointikomiteaa (PRAC) mahdollisesta riskien minimoimisesta.

Lisätietoa lääkevalmisteesta

Oxbrytalle myönnettiin myyntilupa helmikuussa 2022 hemolyyttisen anemian (veren punasolujen liiallinen hajoaminen) hoitoon vähintään 12-vuotiailla potilailla, joilla on sirppisolutauti. Sitä voitiin antaa yksinään tai yhdessä toisen sirppisolutaudin hoitoon tarkoitetun lääkkeen, hydroksikarbamidin, kanssa. Oxbrytan vaikuttava aine on vokselotori.

Sirppisolutauti on geneettinen sairaus, jossa elimistön tuottaman hemoglobiinin (happea kuljettava punasolujen proteiini) muoto on poikkeava. Punasolut muuttuvat jäykiksi ja tahmeiksi, ja niiden muoto muuttuu kiekkomaisesta sirpin muotoiseksi.

Lisätietoa menettelystä

Oxbrytan arviointi aloitettiin 29. heinäkuuta 2024 Euroopan komission pyynnöstä [asetuksen \(EY\) N:o 726/2004 20 artiklan](#) nojalla.

Arvioinnin suoritti ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevä komitea (CHMP), joka vastaa ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista kysymyksistä ja joka hyväksyi viraston lausunnon.

Komitean lausunto toimitettiin Euroopan komissiolle, joka teki asiasta oikeudellisesti sitovan ja kaikkiin EU:n jäsenvaltioihin sovellettavan lopullisen päätöksen 9. joulukuuta 2025.

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

