



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

4. lokakuuta 2024
EMA/464087/2024

Sirppisolutaudin hoitoon tarkoitetun Oxbryta-lääkevalmisteen myyntiluvan peruuttaminen väliaikaisesti

Varotoimenä toteutettu toimi uusien tietojen arvioinnin ollessa käynnissä.

Euroopan lääkeviraston ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevä komitea (CHMP) suositteli 26. syyskuuta 2024 sirppisolutautiin tarkoitetun Oxbryta-lääkevalmisteen (vokselotori) myyntiluvan peruuttamista väliaikaisesti. Tämä toimenpide on toteutettu varotoimenä, kun uusien tietojen arviointi on käynnissä.

Suositus perustui kahdessa rekisteritutkimuksessa saatuihin uusiin turvallisuustietoihin. Tiedot osoittivat, että tutkimuksissa potilailla esiintyi Oxbryta-hoidon aikana enemmän vazo-okklusiivisia kriisejä kuin ennen hoidon aloittamista. Vaso-okklusiiviset kriisit ovat sirppisolutaudin yleisimpiä komplikaatioita. Kriiseihin liittyy akuuttia kipua, ja ne voivat johtaa uusiin terveyskomplikaatioihin, kuten niveltulehdukseen, munuaisten vajaatoimintaan ja aivohalvaukseen.

Uudet turvallisuustiedot tulivat ilmi, kun Euroopan lääkevirasto oli jo arvioimassa Oxbrytan hyötyjä ja riskejä osana meneillään olevaa, heinäkuussa 2024 aloitettua [arviointia](#). Arviointiin ryhdyttiin, koska yhdestä kliinisestä tutkimuksesta saadut tiedot osoittivat, että Oxbrytaa saaneiden ryhmässä ilmeni enemmän kuolemantapauksia kuin lumeryhmässä. Toinen tutkimus osoitti, että kuolemantapausten kokonaismäärä oli ennakoitua suurempi.

Näin ollen ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevä komitea katsoi, että nämä tiedot antavat aihetta vakavaan huoleen Oxbrytan turvallisuudesta. Lisääntyneiden epävarmuustekijöiden vuoksi se siksi suositteli, että lääkkeen myyntilupa, myynnissä pitäminen ja markkinoille toimittaminen keskeytetään väliaikaisesti, kunnes meneillään olevassa arvioinnissa on arvioitu kaikki saatavilla olevat tiedot.

Samaan aikaan Oxbrytaa markkinoiva yhtiö päätti vetää lääkkeen pois kaikkien maiden markkinoilta, joissa sitä on saatavilla, ja lopettaa meneillään olevat kliiniset tutkimukset, erityiskäyttöohjelmat ja nopeutetun saatavuuden ohjelmat.

Käynnissä olevan arvioinnin ajan Euroopan lääkevirasto suosittelee, että

- lääkärit eivät aloita Oxbryta-lääkitystä uusilla potilailla
- lääkärit ottavat yhteyttä Oxbryta-hoitoa tällä hetkellä saaviin potilaisiin hoidon lopettamiseksi ja keskustellakseen vaihtoehtoisista hoitovaihtoehtoista
- lääkärit jatkavat potilaiden seurantaa haittavaikutusten varalta Oxbryta-hoidon lopettamisen jälkeen



- potilaat keskustelevat lääkärin kanssa ennen lääkkeen käytön lopettamista
- potilaat ottavat yhteyttä lääkäriin, jos heillä on kysyttävää.

Lääkettä määrääville, jakaville tai antaville terveydenhuollon ammattilaisille lähetetään tiedote (DHPC), jossa on yksityiskohtaisemmat suositukset. Kyseinen terveydenhuollon ammattilaisille tarkoitettu tiedote julkaistaan myös [Euroopan lääkeviraston verkkosivustolla](#).

EMAn suositus myyntiluvan väliaikaisesta peruuttamisesta toimitettiin Euroopan komissiolle, joka antoi 4. lokakuuta 2024 lopullisen oikeudellisesti sitovan päätöksen, jota sovelletaan kaikissa EU:n jäsenvaltioissa.

Euroopan lääkevirasto jatkaa Oxbrytan arviointia ja antaa lopullisen suosituksen aikanaan.

Lisätietoa lääkevalmisteesta

Oxbryta on lääke, jota käytetään hemolyyttisen anemian (veren punasolujen liiallinen hajoaminen) hoitoon vähintään 12-vuotiailla potilailla, joilla on sirppisolutauti. Oxbrytaa voidaan antaa yksinään tai yhdessä toisen sirppisolusairauden 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 muotoisiksi.

Oxbryta sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 14. helmikuuta 2022.

Lisätietoa menettelystä

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

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

Ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevän komitean suositus Oxbrytan myyntiluvan väliaikaisesta peruuttamisesta arvioinnin ajaksi lähetettiin Euroopan komissiolle, joka antoi 4. lokakuuta 2024 laillisesti sitovan päätöksen.