

4 octobre 2024
EMA/464087/2024

Suspension du médicament Oxbryta indiqué dans le traitement de la drépanocytose

Mesure prise à titre de précaution alors que l'examen de données émergentes est en cours

Le 26 septembre 2024, le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'EMA a recommandé la suspension de l'autorisation de mise sur le marché pour le médicament Oxbryta (voxelotor), indiqué dans le traitement de la drépanocytose; cette mesure a été prise à titre de précaution alors qu'un examen des données émergentes est en cours.

La recommandation suit les données de sécurité émergentes issues de deux études basée sur le registre, qui indiquent que les patients participant aux études présentaient une occurrence plus élevée de crises vaso-occlusives (CVO) pendant le traitement par Oxbryta qu'avant le début du traitement. Les crises vaso-occlusives comptent parmi les complications les plus courantes de la drépanocytose; elles impliquent des épisodes de douleur aiguë et peuvent entraîner d'autres complications sanitaires, telles que l'arthrite, l'insuffisance rénale et l'accident vasculaire cérébral.

Ces nouvelles données de sécurité sont apparues alors que l'EMA examinait déjà les bénéfices et les risques d'Oxbryta dans le cadre d'un [réexamen](#) en cours qui a débuté en juillet 2024. Celui-ci avait été déclenché car les données d'un essai clinique ont montré qu'un nombre plus élevé de décès s'était produit avec Oxbryta qu'avec un placebo (traitement fictif), et qu'un autre essai a montré que le nombre total de décès était plus élevé que prévu.

Dans ce contexte, le CHMP a considéré que, dans l'ensemble, ces données soulèvent de graves préoccupations quant à la sécurité d'Oxbryta; en raison des incertitudes accrues, il a donc recommandé que l'autorisation, la mise sur le marché et la fourniture du médicament soient suspendues jusqu'à ce que toutes les données disponibles aient été évaluées dans le cadre de l'examen en cours.

Parallèlement, la société qui commercialise Oxbryta a décidé de retirer et de rappeler le médicament dans tous les pays où il est disponible, et d'interrompre les essais cliniques en cours, l'utilisation compassionnelle et les programmes d'accès précoce.

Tant que l'examen est en cours, l'EMA recommande ce qui suit:

- les médecins ne doivent pas instaurer le traitement par Oxbryta chez de nouveaux patients;
- les médecins doivent contacter les patients actuellement traités par Oxbryta pour arrêter le traitement et discuter des autres possibilités thérapeutiques;

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000 Une agence de l'Union européenne



- les médecins doivent continuer à surveiller les patients pour détecter tout événement indésirable après l'arrêt du traitement par Oxbryta;
- les patients doivent consulter leur médecin avant d'arrêter leur médicament;
- les patients qui se posent des questions doivent en parler à leur médecin.

Des recommandations plus détaillées seront envoyées aux professionnels de santé qui prescrivent, délivrent ou administrent le médicament dans une communication directe aux professionnels de santé (DHPC). Le DHPC sera également publié sur le [site web de l'EMA](#).

La recommandation de suspension de l'EMA a été transmise à la Commission européenne, qui a adopté une décision juridiquement contraignante applicable dans tous les États membres de l'UE le 4 octobre 2024.

L'EMA poursuivra son examen d'Oxbryta et publiera une recommandation finale en temps utile.

Plus d'informations sur le médicament

Oxbryta est un médicament utilisé dans le traitement de l'anémie hémolytique (dégradation excessive des globules rouges) chez les patients âgés de 12 ans et plus atteints de drépanocytose. Oxbryta peut être administré seul ou en association avec un autre médicament contre la drépanocytose appelé hydroxycarbamide. Il contient la substance active voxelotor.

La drépanocytose est une maladie génétique dans laquelle les individus produisent une forme anormale d'hémoglobine (la protéine présente dans les globules rouges qui transporte l'oxygène). Les globules rouges deviennent rigides et collants et perdent leur forme de disque pour prendre celle d'un croissant (comme une faucille).

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Oxbryta, le 14 février 2022.

Informations complémentaires relatives à la procédure

Le réexamen d'Oxbryta a été ouvert le 29 juillet 2024 à la demande de la Commission européenne, conformément [à l'article 20 du règlement \(CE\) n° 726/2004](#).

Le réexamen est actuellement effectué par le comité des médicaments à usage humain (CHMP), chargé des questions relatives aux médicaments à usage humain, qui adoptera l'avis de l'Agence.

La recommandation du CHMP de suspendre Oxbryta pendant que ce réexamen était en cours a été envoyée à la Commission européenne, qui a publié une décision juridiquement contraignante le 4 octobre 2024.