



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 Deireadh Fómhair 2025
EMA/298985/2025

Deimhníonn EMA go bhfuil an leigheas galar corráncheallaigh Oxbryta curtha ar fionraí

Fágann ráta níos airde báis agus aimhréidheanna galair i dtrialacha le déanaí nach bhfuil an chothromaíocht idir tairbhe agus riosca fabhrach a thuilleadh

Ar an 16 Deireadh Fómhair 2025, mhol coiste leigheasanna daonna (CHMP) de chuid EMA go bhfanfaidh údarú margaíochta an leighis galair corráncheallaigh Oxbryta ar fionraí. Lean an moladh seo bearta eatarabhacha a ghlac an Coiste i Meán Fómhair 2024, nuair a chuir sé an leigheas ar fionraí go sealadach chun athbhreithniú a dhéanamh ar shonraí sábháilteachta atá ag teacht chun cinn.

Tar éis a mheasúnaithe, chinn an CHMP nach bhfuil buntáistí an leighis níos tábhachtaí ná a rioscaí a thuilleadh. Cuireadh tús leis an athbhreithniú tar éis do shonraí líon níos airde básanna a thaispeáint le Oxbryta ná le placebo (cóireáil bhréagach) i dtrial cliniciúil amháin¹ agus líon níos airde básanna ná mar a bhíodhas ag súil leis i dtrial eile.²

Sa chéad staidéar, ina ndearnadh measúnú ar éifeacht Oxbryta i ndaoine a raibh galar corráncheallaigh orthu agus a bhí i mbaol níos airde stróic, fuair ochtar leanbh a ndearnadh cóireáil orthu le Oxbryta bás, i gcomparáid le beirt leanbh a fuair cóireáil placebo. Sa dara staidéar, ina ndearnadh meastóireacht ar éifeacht an leighis ar othrais chos, deacracht aitheanta de ghalar corráncheallaigh, fuair duine amháin bás sa ghrúpa Oxbryta le linn na chéad 12 sheachtain den chóireáil, agus níor tharla aon bhásanna sa ghrúpa placebo. Sa chéim 12 seachtaine ina dhiaidh sin den staidéar, áit a bhfuair gach othar Oxbryta, tuairiscíodh ocht mbás breise. Léiríodh sna staidéir freisin líon níos airde eipeasóidí de phian dian tobann, lena n-áirítear géarchéimeanna vasa-oclúideach (VOC) i measc othar a ndearnadh cóireáil orthu le Oxbryta i gcomparáid leo siúd a fuair placebo.

Ar an 26 Meán Fómhair 2024, mhol an CHMP an t-údarú margaíochta a chur ar fionraí mar bheart réamhchúraim nuair a tháinig tuilleadh sonraí chun cinn ó dhá staidéar bunaithe ar chlárilanna, rud a léirigh go raibh minicíocht níos airde eipeasóidí de phian tobann ag othair le Oxbryta ná mar a bhí roimh thús na cóireála. Ag an am sin, thug an EMA comhairle do ghairmithe cúram sláinte agus

¹ Teiripí Fola Domhanda. *GBT440-032 Staidéar Céim 3 i Rannpháirtithe a bhfuil Galar Corráncheallaigh orthu (HOPE Kids 2)*. ID IRAS: 242661. Uimhir EudraCT: 2017-000903-26. Tagairt REC: 18/LO/0359. Londain - Coiste Eitice Taighde Chathair agus Thoir. An tÚdarás Taighde Sláinte. Ar fáil ag: <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 *Triail Chéim 3, Il-lárionad, Randamaithe, Dall Dúbailte, Rialaithe le Placebo chun Éifeachtúlacht Voxelotor a Mheasúnú maidir le Cóireáil Othras na gCos in Othair a bhfuil Galar Corráncheallaigh orthu (RESOLVE)*. Uimhir EudraCT: 2025-000161-87. Aitheantóir ClinicalTrials.gov: NCT05561140. Ar fáil ag: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



d'othair, ag cur in iúl nár cheart Oxbryta a fhorordú a thuilleadh agus gur cheart othair atá ann cheana a aistriú chuig cóireáil mhalartach.³

Cé nár dheimhnigh an anailís dheiridh ar staidéir chlárlainne méadú ar eipeasóidí de phian tobann le Oxbryta, léirigh na trialacha cliniciúla le déanaí níos mó eipeasóidí de phian tobann agus níos mó básanna. Ní raibh na torthaí sin ag teacht le torthaí na príomhthrialach cliniciúla roimhe sin a thacaigh le húdarú Oxbryta, nár léirigh aon difríocht idir na grúpaí cóireála.

Ina athbhreithniú, thug an CHMP faoi deara maidir leis na meicníochtaí bunúsacha leis an méadú ar líon na mbásanna agus na n-aimhréidheanna, lena n-áirítear eipeasóidí de phian tobann, tar éis cóireála le Oxbryta sna staidéir, nach bhfuil siad soiléir fós. Ní bhfuair an CHMP aon mhíniú soiléir ar na rioscaí méadaithe agus ní fhéadfadh siad bearta a aithint chun na rioscaí seo a íoslaghdú go héifeachtach ná aon fhoghrúpa othar a mbeadh buntáistí an leighis níos tábhachtaí ná na rioscaí ina leith. Mar thoradh air sin, chinn an CHMP nach bhfuil an chothromaíocht idir tairbhe agus riosca a bhaineann le Oxbryta fabhrach a thuilleadh, agus gur cheart go bhfanfadh fionraí údarú margaíochta an leighis i bhfeidhm. Dá bhrí sin, ní bheidh Oxbryta ar fáil do ghairmithe cúram sláinte le forordú d'othair san Aontas.

Agus a thuairim á déanamh, chuir an CHMP comhairle ó shaineolaithe sa réimse chomh maith le hionadaithe othar san áireamh agus chuaigh sé i gcomhairle le coiste sábháilteachta EMA (PRAC) maidir le bearta íoslaghdaithe riosca a d'fhéadfadh a bheith ann.

Tuilleadh faisnéise faoin leigheas

Údaráíodh Oxbryta i mí Feabhra 2022 chun anéime haemalaíoch (miondealú iomarcach cealla fola dearga) a chóireáil in othair atá 12 bhliain d'aois agus níos sine a bhfuil galar corráncheallaigh orthu. Tugadh é leis féin nó in éineacht le leigheas eile le haghaidh galar corráncheallaigh, ar a dtugtar hidrocsocharbamíd. Tá an tsubstaint ghníomhach vocsalator in Oxbryta.

Is galar géiniteach é galar corráncheallaigh ina dtáirgeann daoine aonair foirm neamhghnácha haemaglóibine (an phróitéin i bhfuilchealla dearga a iompraíonn ocsaigin). Éiríonn na fuilchealla dearga righin agus greamaitheach agus athraíonn siad ó bheith dioscachruthach go corránchruthach (cosúil le corrán).

Tuilleadh faisnéise faoin nós imeachta

Cuireadh tús leis an athbhreithniú ar Oxbryta ar an 29 Iúil 2024 ar iarratas ón gCoimisiún Eorpach, faoi [Airteagal 20 de Rialachán \(CE\) Uimh. 726/2004](https://www.ema.europa.eu/en/documents/referral/oxbryta-article-20-procedure-suspension-sickle-cell-disease-medicine-oxbryta_en.pdf).

Rinne an Coiste um Tháirgí Íocshláinte lena n-úsáid ag an Duine (CHMP) an t-athbhreithniú, atá freagrach as ceistanna maidir le leigheasanna lena n-úsáid ag an duine. Ghlac CHMP an tuairim ón nGníomhaireacht.

Cuireadh an tuairim ó CHMP ar aghaidh chuig an gCoimisiún Eorpach, a d'eisigh cinneadh deiridh atá ina cheangal dlí atá infheidhme i ngach Ballstát den Aontas Eorpach ar an 9 Nollaig 2025.

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