



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. listopada 2025.  
EMA/298985/2025

## EMA potvrđuje obustavu odobrenja za lijek Oxbryta za liječenje bolesti srpastih stanica

Viša stopa smrtnih slučajeva i komplikacija bolesti u nedavnim ispitivanjima znači da omjer koristi i rizika više nije povoljan

Dana 16. listopada 2025. Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) Europske agencije za lijekove (EMA) preporučio je da ostane na snazi obustava odobrenja za stavljanje u promet lijeka Oxbryta za liječenje bolesti srpastih stanica. Ta je preporuka uslijedila nakon privremenih mjera koje je Odbor poduzeo u rujnu 2024., kada je privremeno obustavio primjenu lijeka radi pregleda novih podataka o sigurnosti primjene.

Nakon procjene CHMP je zaključio da koristi lijeka više ne nadmašuju njegove rizike. Pregled je započeo nakon što su podatci pokazali veći broj smrtnih slučajeva tijekom primjene lijeka Oxbryta nego tijekom primjene placeba (lijeka koji ne sadržava djelatnu tvar) u jednom kliničkom ispitivanju<sup>1</sup> te veći broj smrtnih slučajeva od očekivanog u drugom ispitivanju.<sup>2</sup>

U prvom ispitivanju, u kojem se procjenjivao učinak lijeka Oxbryta u osoba s bolešću srpastih stanica koje su bile izložene većem riziku od moždanog udara, umrlo je osmero djece liječene lijekom Oxbryta, u usporedbi s dvoje djece koja su primala placebo. U drugom ispitivanju, u kojem se procjenjivao učinak lijeka na ulkuse na nogama, što je poznata komplikacija bolesti srpastih stanica, tijekom prvih 12 tjedana liječenja jedna je osoba umrla u skupini koja je primala lijek Oxbryta, dok u skupini koja je primala placebo nije bilo smrtnih slučajeva. U sljedećoj fazi ispitivanja u trajanju od 12 tjedana, u kojoj su svi bolesnici primali lijek Oxbryta, prijavljeno je osam dodatnih smrtnih slučajeva. Ispitivanja su pokazala i veći broj iznenadnih epizoda jake boli, uključujući vazookluzivne krize (VOK), u bolesnika liječenih lijekom Oxbryta u usporedbi s onima koji su primali placebo.

CHMP je 26. rujna 2024. preporučio obustavu odobrenja za stavljanje lijeka u promet kao mjeru opreza kada su se pojavili dodatni podatci iz dvaju ispitivanja koja se temelje na registrima, a koji su upućivali na to da je u bolesnika došlo do veće učestalosti iznenadnih epizoda boli tijekom primjene

<sup>1</sup> Global Blood Therapeutics. *Ispitivanje GBT440-032 faze 3 u ispitanika s bolešću srpastih stanica (HOPE Kids 2)*. ID u sustavu IRAS: 242661. EudraCT broj: 2017-000903-26. Referentna oznaka REC-a: 18/LO/0359. London – Povjerenstvo za etiku istraživanja za grad London i istočne dijelove. Tijelo za istraživanja u zdravstvu. Dostupno na: <https://www.hra.nhs.uk/planning-and-improving-research/application-summaries/research-summaries/gbtt440-032-phase-3-study-in-participants-with-sickle-cell-disease>

<sup>2</sup> Multicentrično, randomizirano, dvostruko slijepo, placebo kontrolirano ispitivanje faze 3 za procjenu djelotvornosti vokselatora za liječenje ulkusa na nogama u bolesnika s bolešću srpastih stanica (RESOLVE). EudraCT broj: 2025-000161-87. Identifikacijska oznaka na ClinicalTrials.gov: NCT05561140. Dostupno na: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



lijeka Oxbryta nego prije početka liječenja. U to je vrijeme EMA savjetovala zdravstvenim radnicima i bolesnicima da se lijek Oxbryta više ne bi smio propisivati te da bi postojeći bolesnici trebali prijeći na drugi lijek.<sup>3</sup>

Iako se konačnom analizom ispitivanja temeljenih na registrima nije potvrdilo povećanje broja iznenadnih epizoda boli tijekom primjene lijeka Oxbryta, nedavna klinička ispitivanja pokazala su više iznenadnih epizoda boli i smrtnih slučajeva. Ti rezultati nisu bili u skladu s rezultatima ranijeg glavnog kliničkog ispitivanja kojim je potkrijepljeno odobrenje lijeka Oxbryta, u kojem nije utvrđena razlika između skupina za liječenje.

U svojem je pregledu CHMP napomenuo da su temeljni mehanizmi za povećani broj smrtnih slučajeva i komplikacija, uključujući iznenadne epizode boli, nakon liječenja lijekom Oxbryta u ispitivanjima i dalje nejasni. CHMP nije pronašao jasno objašnjenje za povećane rizike i nije mogao utvrditi mjere za učinkovito smanjenje tih rizika ni bilo koju podskupinu bolesnika u kojih bi koristi lijeka nadmašile njegove rizike. Kao rezultat toga, CHMP je zaključio da omjer koristi i rizika lijeka Oxbryta više nije povoljan te da bi obustava odobrenja za stavljanje lijeka u promet trebala ostati na snazi. Stoga će lijek Oxbryta i dalje biti nedostupan zdravstvenim radnicima za propisivanje bolesnicima u EU-u.

Pri donošenju mišljenja CHMP je također uzeo u obzir savjete stručnjaka u tom području i predstavnika bolesnika te se savjetovao s EMA-inim Odborom za procjenu rizika u području farmakovigilancije (PRAC) o mogućim mjerama za smanjenje rizika.

---

## Više o lijeku

Lijek Oxbryta odobren je u veljači 2022. za liječenje hemolitičke anemije (prekomjerne razgradnje crvenih krvnih stanica) u bolesnika u dobi od 12 godina i više s bolešću srpastih stanica. Primjenjivao se kao monoterapija ili u kombinaciji s hidroksikarbamidom, drugim lijekom za liječenje bolesti srpastih stanica. Oxbryta sadrži djelatnu tvar vokselotor.

Bolest srpastih stanica genetska je bolest koja u bolesnika uzrokuje proizvodnju izmijenjenog oblika hemoglobina (bjelančevine u crvenim krvnim stanicama koja prenosi kisik). Crvene krvne stanice postaju krute i ljepljive te se njihov oblik diska mijenja u oblik polumjeseca (nalik srpu).

## Više o postupku

Pregled lijeka Oxbryta započeo je 29. srpnja 2024. na zahtjev Europske komisije, u skladu s [člankom 20. Uredbe \(EZ\) br. 726/2004.](#)

Pregled je proveo Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) nadležan za pitanja koja se odnose na lijekove za primjenu u ljudi, koji je usvojio mišljenje Agencije.

Mišljenje CHMP-a prosljeđeno je Europskoj komisiji koja je 9. prosinca 2025. donijela konačnu, pravno obvezujuću odluku primjenjivu u svim državama članicama EU-a.

---

<sup>3</sup> [https://www.ema.europa.eu/en/documents/referral/oxbryta-article-20-procedure-suspension-sickle-cell-disease-medicine-oxbryta\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/referral/oxbryta-article-20-procedure-suspension-sickle-cell-disease-medicine-oxbryta_en.pdf)