



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025. október 16.
EMA/298985/2025

Az Európai Gyógyszerügynökség megerősíti a sarlósejtes betegség elleni gyógyszer, az Oxbrya felfüggesztését

A közelmúltbeli vizsgálatok során tapasztalt magasabb halálozási arány és betegségrövidítések azt jelentik, hogy az előny-kockázat viszony már nem kedvező

2025. október 16-án az EMA emberi felhasználásra szánt gyógyszerekkel foglalkozó bizottsága (CHMP) azt javasolta, hogy a sarlósejtes betegség kezelésére szolgáló Oxbrya gyógyszer forgalombahozatali engedélyének felfüggesztését továbbra is fenn kell tartani. Ez az ajánlás a bizottság által 2024 szeptemberében tett ideiglenes intézkedéseket követte, amelyek révén a bizottság átmenetileg felfüggesztette a gyógyszert az újonnan felmerülő biztonságossági adatok felülvizsgálata céljából.

Az értékelést követően a CHMP arra a következtetésre jutott, hogy a gyógyszer előnyei már nem haladják meg a kockázatokat. A felülvizsgálatot azt követően indították, hogy az adatok azt mutatták, hogy az Oxbrya esetében az egyik klinikai vizsgálatban¹ nagyobb számú haláleset történt, mint a placebóval (hatóanyag nélküli kezelés), egy másik vizsgálatban pedig a vártnál nagyobb számú haláleset fordult elő.²

Az első vizsgálatban, amelyben az Oxbrya hatását olyan, sarlósejtes betegségben szenvedő betegeknek értékelték, akiknél magasabb volt a stroke kockázata, 8 Oxbrya-val kezelt gyermek halt meg, míg a placebó-kezelésben részesült 2 gyermek halt meg. A második vizsgálatban, amelyben a gyógyszer hatását az alsó végtagi fekélyekre – a sarlósejtes betegség ismert szövődményére – értékelték, 1 személy halt meg az Oxbrya-csoportban a kezelés első 12 hetében, míg a placebo-csoportban nem történt elhalálozás. A vizsgálat következő 12 hetes szakaszában, amelyben minden beteg Oxbrya-t kapott, 8 további halálesetet jelentettek. A vizsgálatok azt is kimutatták, hogy az Oxbrya-val kezelt betegeknek több hirtelen fellépő, súlyos fájdalommal járó epizód fordult elő, beleértve a vazoókluzív kríziseket (VOC), mint a placebóval kezeltéknél.

¹ Global Blood Therapeutics. *GBT440-032 3. fázisú vizsgálat sarlósejtes anaemiában (HOPE Kids 2) szenvedő betegekkel.* IRAS-azonosító: 242661. EudraCT-szám: 2017-000903-26. REC-hivatkozás: 18/LO/0359. London - City & East Research Ethics Committee. Health Research Authority. Elérhető a következő címen: <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) (Egy 3. fázisú, multicentrikus, randomizált, kettős vak, placebo-kontrollált vizsgálat, amelynek célja a Voxelotor hatásosságának értékelése az alsó végtagi fekélyek kezelésében sarlósejtes anaemiában (RESOLECT) szenvedő betegeknek).* EudraCT-szám: 2025-000161-87. ClinicalTrials.gov Identifier: NCT05561140. Elérhető a következő címen: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>

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

An agency of the European Union



2024. szeptember 26-án a CHMP elővigyázatossági intézkedésként a forgalombahozatali engedély felfüggesztését javasolta, amikor két nyilvántartás-alapú vizsgálatból származó további adatok merültek fel, amelyek arra utaltak, hogy a betegeknek az Oxbryta-val összefüggésben gyakrabban fordultak elő hirtelen fájdalommal járó epizódok, mint a kezelés megkezdése előtt. Az EMA ekkor tanácsadást nyújtott az egészségügyi szakemberek és a betegek számára, kiemelve, hogy az Oxbryta-t a továbbiakban nem szabad felírni, és a már kezelés alatt álló betegeket alternatív kezelésre kell átállítani.³

Bár a nyilvántartás-alapú vizsgálatok végső elemzése nem erősítette meg a hirtelen fájdalommal járó epizódok számának növekedését az Oxbryta esetében, a közelmúltban végzett klinikai vizsgálatok hirtelen fájdalommal járó epizódokat és haláleseteket mutattak. Ezek az eredmények nem voltak összhangban az Oxbryta engedélyezését alátámasztó korábbi fő klinikai vizsgálat eredményeivel, amelyek nem mutattak különbséget a kezelt csoportok között.

A felülvizsgálat során a CHMP megjegyezte, hogy a vizsgálatokban az Oxbryta-val végzett kezelést követően a halálesetek és szövődmények – többek között a hirtelen fájdalmi epizódok – megemelkedett számának mögöttes mechanizmusai továbbra sem egyértelműek. A CHMP nem talált egyértelmű magyarázatot a megnövekedett kockázatokra, és nem tudott olyan intézkedéseket azonosítani, amelyek hatékonyan minimalizálnák ezeket a kockázatokat, illetve a betegek egyetlen alcsoportját sem, akiknél a gyógyszer alkalmazásának előnyei meghaladnák a kockázatokat. Ennek eredményeként a CHMP arra a következtetésre jutott, hogy az Oxbryta előny-kockázat profilja már nem kedvező, és a gyógyszer forgalombahozatali engedélyének felfüggesztését fenn kell tartani. Az Oxbryta ezért az EU-ban továbbra sem lesz elérhető az egészségügyi szakemberek számára a betegeknek történő felíráshoz.

Véleményének kialakításakor a CHMP figyelembe vette a szakterület szakértőinek és a betegek képviselőinek tanácsait is, és konzultált az EMA biztonsági bizottságával (PRAC) a lehetséges kockázatminimalizáló intézkedésekről.

További információk a gyógyszerről

Az Oxbryta-t 2022 februárjában engedélyezték a legalább 12 éves, sarlósejtes betegségben szenvedő betegeknek fellépő hemolitikus anaemia (a vörösvérsejtek túlzott lebomlása) kezelésére. A gyógyszert önmagában vagy a sarlósejtes betegség kezelésére szolgáló másik gyógyszerrel, a hidroxikarbamidral együtt alkalmazták. Az Oxbryta hatóanyaga a voxelotor.

A sarlósejtes betegség egy genetikai eredetű betegség, amely során az emberek szervezetében a hemoglobin (a vörösvérsejtekben az oxigént szállító fehérje) egy kóros formája termelődik. A vörösvérsejtek rugalmatlanná és ragadóssá válnak, és formájuk korong alakúról sarló alakúra változik.

További információ az eljárásról

Az Oxbryta felülvizsgálatát 2024. július 29-én kezdeményezték az Európai Bizottság kérésére, [a 726/2004/EK rendelet 20. cikke alapján](#).

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

A felülvizsgálatot az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP), az emberi felhasználásra szánt gyógyszereket érintő kérdésekben felelős bizottság végezte, amely elfogadta az Ügynökség véleményét.

A CHMP véleményét továbbították az Európai Bizottságnak, amely 2025. december 9-én az összes uniós tagállamban alkalmazandó, végleges, jogilag kötelező erejű határozatot adott ki.