



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2024. október 4.
EMA/464087/2024

Sarlósejtes betegség elleni gyógyszer, az Oxbryta felfüggesztése

Elővigyázatosságból tett intézkedés, amíg a felmerülő adatok felülvizsgálata folyamatban van

2024. szeptember 26-án az Európai Gyógyszerügynökség emberi felhasználásra szánt gyógyszerekkel foglalkozó bizottsága (CHMP) a sarlósejtes betegség elleni gyógyszer, az Oxbryta (voxelotor) forgalombahozatali engedélyének felfüggesztését javasolta; ezt az intézkedést óvintézkedésként alkalmazták, amíg a felmerülő adatok felülvizsgálata folyik.

Az ajánlás két, nyilvántartás-alapú vizsgálat újonnan felmerülő biztonságossági adatait követi, amelyek arra utalnak, hogy a vizsgálatokban részt vevő betegeknél nagyobb arányban fordultak elő vazookkluzív krízisek (VOC) az Oxbryta-kezelés során, mint a gyógyszer alkalmazásának megkezdése előtt. A sarlósejtes betegség leggyakoribb szövődményei közé tartoznak a vazookkluzív krízisek, amelyek akut fájdalmas epizódokkal járnak, és további egészségügyi szövődményekhez, például ízületi gyulladásokhoz, veseelégtelenséghez és agyvérzéshez vezethetnek.

Ezek az új biztonságossági adatok akkor merültek fel, amikor az EMA egy, 2024 júliusában elindított, folyamatban lévő [felülvizsgálat](#) keretében már felülvizsgálta az Oxbryta előnyeit és kockázatait. Ezt azért indították el, mert egy klinikai vizsgálatból származó adatok azt mutatták, hogy az Oxbryta esetében több haláleset történt, mint a placebóval (hatóanyag nélküli kezelés), egy másik vizsgálat pedig azt mutatta, hogy a halálesetek teljes száma a vártnál magasabb volt.

Ebben az összefüggésben a CHMP úgy vélte, hogy összességében ezek az adatok súlyos aggályokat vetnek fel az Oxbryta biztonságosságával kapcsolatban; a fokozott bizonytalanságok miatt ezért javasolta a gyógyszer engedélyének, forgalomba hozatalának és szállításának felfüggesztését, amíg a folyamatban lévő felülvizsgálat során az összes rendelkezésre álló adatot nem értékeli.

Ezzel párhuzamosan az Oxbryta-t forgalmazó vállalat úgy döntött, hogy minden olyan országból kivonja és visszahívja a gyógyszert, ahol az forgalomban van, és megszünteti a folyamatban lévő klinikai vizsgálatokat, az engedélyezés előtti alkalmazást és a korai hozzáférési programokat.

Bár a felülvizsgálat folyamatban van, az EMA a következő ajánlásokat teszi:

- az orvosok nem kezdhetik meg új betegek kezelését az Oxbryta-val;
- az orvosoknak fel kell keresniük a jelenleg Oxbryta-val kezelt betegeket a kezelés leállítása és az alternatív kezelési lehetőségek megbeszélése érdekében;



- az orvosoknak az Oxbryta-kezelés leállítása után továbbra is figyelemmel kell kísérniük a betegeket a mellékhatások szempontjából;
- a betegeknek a gyógyszer abbahagyása előtt beszélniük kell kezelőorvosukkal;
- amennyiben a betegek részéről kérdések merülnek fel, forduljanak kezelőorvosukhoz.

Részletesebb ajánlásokat fognak küldeni a gyógyszert felíró, kiadó vagy alkalmazó egészségügyi szakemberek számára, egészségügyi szakembereknek szóló közvetlen tájékoztatás (DHPC) formájában. Az egészségügyi szakembereknek szóló közvetlen tájékoztatást az [EMA honlapján](#) is közzéteszik.

Az EMA felfüggesztésre vonatkozó ajánlását továbbították az Európai Bizottságnak, amely 2024. október 4-én az EU minden tagállamában alkalmazandó, jogilag kötelező érvényű határozatot adott ki.

Az Európai Gyógyszerügynökség folytatja az Oxbryta felülvizsgálatát, és kellő időben végleges ajánlást fog kiadni.

További információk a gyógyszerről

Az Oxbryta-t a legalább 12 éves, sarlósejtes betegségben szenvedő betegeknél fellépő hemolitikus anémia (a vörösvérsejtek túlzott lebomlása) kezelésére alkalmazzák. Az Oxbryta alkalmazható önmagában vagy a sarlósejtes betegség kezelésére szolgáló másik gyógyszerrel, a hidroxikarbamidral együtt. A gyógyszer hatóanyaga a voxelotor.

A sarlósejtes betegség egy genetikai eredetű betegség, amely során az betegek 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.

2022. február 14-én az Oxbryta az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

További információ az eljárásról

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

A felülvizsgálatot az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) végzi, amely az emberi felhasználásra szánt gyógyszerekkel kapcsolatos kérdésekért felelős, és elfogadja az Ügynökség véleményét.

A CHMP arra vonatkozó ajánlását, hogy függessze fel az Oxbryta-t, amíg a felülvizsgálat folyamatban van, továbbították az Európai Bizottságnak, amely 2024. október 4-én jogilag kötelező érvényű határozatot adott ki.