



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. október 2025
EMA/298985/2025

Lyfjastofnun Evrópu (EMA) staðfestir frestun markaðsleyfis fyrir lyfið Oxbryta sem notað er sem meðferð við sigðkornasjúkdóm

Hærri dánartíðni og fylgikvillar sjúkdóma í nýlegum rannsóknum þýðir að
jafnvægið á milli ávinnings og áhættu er ekki lengur hagstætt.

Þann 16. október 2025 mælti nefnd Lyfjastofnunar Evrópu (EMA) með því að markaðsleyfi lyfsins Oxbryta, sem notað er sem meðferð við sigðkornasjúkdóm, verði áfram frestað. Þessi tilmæli komu í kjölfar bráðabirgðaráðstafana sem nefndin tók í september 2024, þegar hún stöðvaði tímabundið notkun lyfsins til að fara yfir ný öryggisgögn.

Eftir mat sitt komst CHMP að þeirri niðurstöðu að ávinningur af lyfinu vegi ekki lengur þyngra en áhætta þess. Endurskoðunin hófst eftir að gögn sýndu fram á hærri fjölda dauðsfalla með Oxbryta en með lyfleysu (lyfjameðferð) í einni klínískri rannsókn¹ og fleiri dauðsföllum en búist var við í annarri rannsókn.²

Í fyrstu rannsókninni, þar sem mat var áhrif Oxbryta á fólk með sigðfrumublóðleysi sem var í meiri hættu á heilablóðfalli, létust 8 börn sem fengu Oxbryta, samanborið við 2 börn sem fengu lyfleysu. Í annarri rannsókninni, þar sem mat var áhrif lyfsins á fótasár, þekktan fylgikvilla sigðfrumublóðleysis, lést einn einstaklingur í Oxbryta hópnum á fyrstu 12 vikum meðferðar, en engin dauðsföll komu fyrir í lyfleysuhópnum. Í næsta 12 vikna áfanga rannsóknarinnar, þar sem allir sjúklingar fengu Oxbryta, var greint frá 8 dauðsföllum til viðbótar. Rannsóknirnar sýndu einnig fram á fleiri skyndileg tilfelli af miklum verkjum, þar á meðal æðaprengjandi kreppu (VOC) hjá sjúklingum sem fengu Oxbryta samanborið við þá sem fengu lyfleysu.

Hinn 26. september 2024 mælti CHMP með því að fella markaðsleyfið tímabundið úr gildi sem varúðarráðstöfun þegar frekari upplýsingar úr tveimur rannsóknum sem byggjast á skráð komu fram, sem bentu til þess að sjúklingar upplifðu hærri tíðni skyndilegra verkjakasta með Oxbryta en áður en

¹ Alþjóðleg blóðmeðferð. GBT440-032 3. stigs rannsókn á þátttakendum með sigðfrumusjúkdóm (HOPE Kids 2). IRAS ID: 242661. EudraCT-númer 2017-000903-26. Tilvísun í REC: 18/LO/0359. London – City & East Siðanefnd rannsókna. Heilbrigðisrannsóknarstofnun. Aðgengilegt á: <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 Fjölsætra, slembiráðað, tvíblind, lyfleysustýrð rannsókn í 3. stigi til að meta virkni Voxelotors við meðferð fótasára hjá sjúklingum með sigðfrumublóðleysi (RESOLVE). EudraCT-númer 2025-000161-87. Auðkenni ClinicalTrials.gov: NCT05561140. Aðgengilegt á: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



meðferð hófst. Á þeim tíma veitti EMA heilbrigðisstarfsfólki og sjúklingum ráðgjöf og lagði áherslu á að ekki ætti lengur að ávísa Oxbryta og að núverandi sjúklingum ætti að skipta yfir í aðra meðferð.³

Þó að lokagreining skráningarrannsóknanna staðfesti ekki aukningu á skyndilegum verkjaköstum við notkun Oxbryta, sýndu nýlegar klínískar rannsóknir fleiri skyndileg verkjaköst og dauðsföll. Þessar niðurstöður voru ekki í samræmi við niðurstöður á fyrri megin klínísku rannsókn sem studdi leyfisveitingu Oxbryta, sem hafði ekki sýnt fram á mun á milli meðferðarhópanna.

Í úttekt sinni benti CHMP á að undirliggjandi ferlar aukins fjölda dauðsfalla og fylgikvilla, þar á meðal skyndilegra verkjakasta, eftir meðferð með Oxbryta í rannsóknunum er enn óljós. CHMP fann enga skýra skýringu á aukinni áhættu og gat ekki bent á aðgerðir til að lágmarka þessa áhættu á áhrifaríkan hátt eða neinn undirhóp sjúklinga þar sem ávinningur lyfsins myndi vega þyngra en áhættan. Þar af leiðandi komst CHMP að þeirri niðurstöðu að jafnvægið milli ávinnings og áhættu af Oxbryta væri ekki lengur hagstætt og að frestun markaðsleyfis lyfsins ætti að haldast áfram í gildi. Því verður Oxbryta áfram ófáanlegt fyrir heilbrigðisstarfsmenn til að ávísa sjúklingum í ESB.

Við álit sitt tók CHMP einnig tillit til ráðlegginga frá sérfræðingum á þessu sviði sem og frá fulltrúum sjúklinga og hafði samráð við öryggisnefnd EMA (PRAC) um hugsanlegar aðgerðir til að lágmarka áhættu.

Meira um lyfið

Oxbryta fékk markaðsleyfi í febrúar 2022 sem lyf til að meðhöndla blóðlýsublóðleysi (of mikið niðurbrot rauðra blóðkorna) hjá sjúklingum 12 ára og eldri sem eru með sigðkornasjúkdóm. Gefa má það eitt sér eða ásamt öðru lyfi við sigðfrumusjúkdómi sem kallast hýdroxýkarbamíð. Oxbryta inniheldur virka efnið voxelotor.

Sigðkornasjúkdómur er erfðasjúkdómur þar sem einstaklingar framleiða óeðlilega gerð blóðrauða (prótínið í rauðum blóðkornum sem flytur súrefni). Rauð blóðkornin verða stíf og klístruð og breytast frá því að vera í laginu eins og diskur yfir í að vera í laginu eins og hálfmáni (eins og sigð).

Meira um verklagið

Endurmat Oxbryta hófst 29. júlí 2024 að beiðni framkvæmdastjórnar Evrópusambandsins skv. 20. gr. [reglugerðar \(EB\) nr. 726/2004](#).

Endurskoðunin var framkvæmd af nefnd um lyf, sem ætluð eru mönnum (CHMP), en hún ber ábyrgð á spurningum um lyf sem ætluð eru mönnum en hún samþykkti álit stofnunarinnar.

Álit CHMP var áframsent til framkvæmdastjórnar Evrópusambandsins sem gaf út bindandi lokaákvörðun sem gildir í öllum aðildarríkjum Evrópusambandsins frá og með 9. desember 2025.

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