



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

4. október 2024
EMA/464087/2024

Frestun markaðsleyfis fyrir lyfið Oxbryta sem notað er sem meðferð við sigðkornasjúkdóm

Ráðstöfun sem gripið er til í varúðarskyni á meðan verið er að endurskoða nýjar upplýsingar sem fram hafa komið

Samkvæmt tilmælum frá mannalyfjanefnd (CHMP) Lyfjastofnunar Evrópu (EMA) frá 26. september 2024 hefur verið ákveðið að fresta markaðsleyfi fyrir siðkornasjúkdómslyfið Oxbryta (voxelotor); en gripið hefur verið til þessarar ráðstöfunar í varúðarskyni á meðan verið er að endurskoða nýjar upplýsingar sem fram hafa komið.

Tilmælin komu í kjölfar nýrra öryggisupplýsinga úr tveim rannsóknum sem byggja á sjúklingaskráum sem bentu til þess að sjúklingar í rannsóknunum hafi haft hærri tíðni æðaprengingarkreppu meðan á meðferð með Oxbryta stóð samanborið við áður en meðferð með Oxbryta var hafin.

Æðaprengingarkreppur eru á meðal algengustu fylgikvilla sigðkornasjúkdóms; sá kvilli felur í sér bráðaverki og getur leitt til frekari heilsufarsvandamála, svo sem liðagigtar, nýrnabilunar og heilablóðfalls (slags).

Þessar nýju öryggisupplýsingar komu fram á meðan EMA var þegar að endurmeta ávinning og áhættu af völdum Oxbryta sem hluta af yfirstandandi [endurmati](#) sem hófst í júlí 2024. Kveikjan að því var að klínísk rannsókn sýndi fram á að tíðni dauðsfalla var hærri hjá þeim sem notuðu Oxbryta en hjá þeim sem fengu lyfleysu (lyfleysumeðferð) og önnur rannsókn sýndi að heildarfjöldi dauðsfalla var hærri en búist var við.

Í þessu samhengi taldi CHMP að, heilt á litið, veki þessar upplýsingarnar alvarlegar áhyggjur með tilliti til öryggi Oxbryta; vegna þessarar auknu óvissu er því lagt til að markaðssetningu og afhendingu lyfsins yrði frestað þar til öll fyrirliggjandi gögn hafa verið metin sem hluti af yfirstandandi [endurmati](#).

Samhliða þessu ákvað fyrirtækið sem markaðssetur Oxbryta að draga til baka og innkalla lyfið frá öllum þeim löndum þar sem það hefur verið í dreifingu og stöðva yfirstandandi klínískar rannsóknir, notkun í sérstökum tilvikum án formlegrar rannsóknar og meðferðaráætlunum með snemmbúinn aðgang.

Þó að [endurmatið](#) sé enn yfirstandandi þá eru tilmæli EMA að:

- lækna ættu ekki að láta nýja sjúklinga byrja á Oxbryta;
- lækna ættu að hafa samband við þá sjúklinga sem þegar eru í meðferð með Oxbryta til að stöðva meðferð og ræða önnur meðferðarúrræði;



- lækna skuli halda áfram að fylgjast með sjúklingum með tilliti til aukaverkana eftir að meðferð með Oxbryta er hætt;
- sjúklingar þurfi að ráðfæra sig við lækinn áður en meðferð er hætt;
- sjúklingar sem hafa einhverjar spurningar ættu að ráðfæra sig við lækinn sinn.

Nánari ráðleggingar verða sendar því heilbrigðisstarfsfólki sem ávísar lyfinu, dreifir því eða gefur lyfið með bréfi til heilbrigðisstarfsfólks (DHPC). DHPC verður einnig birt á [vefsíðu EMA](#).

Álit CHMP um frestun var áframsent til framkvæmdastjórnar Evrópusambandsins sem gaf út bindandi lokaákvörðun sem gildir í öllum aðildarríkjum Evrópusambandsins frá og með 4. október 2024.

EMA mun halda áfram endumati sínu á Oxbryta og gefa út endanleg tilmæli í kjölfarið.

Meira um lyfið

Oxbryta er lyf sem notað er til að meðhöndla blóðlýsublóðleysi (of mikið niðurbrot rauðra blóðkorna) hjá sjúklingum 12 ára og eldri sem eru með sigðkornasjúkdóm. Oxbryta má gefa eitt sér eða ásamt öðru lyfi við sigðfrumusjúkdómi sem kallast hýdroxýkarbamíð. Það 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).

Oxbryta fékk markaðsleyfi þann 14. febrúar 2022 sem gildir fyrir allt ESB.

Meira um verklagið

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

Endurmatið var framkvæmt af CHMP mannalyfjaneftirbúningi, en hún ber ábyrgð á spurningum sem vakna um mannalyf og mun taka upp álit stofnunarinnar.

Tilmæli CHMP um að fresta markaðsleyfi Oxbryta á meðan endurmat stendur yfir var sent til framkvæmdastjórnar Evrópusambandsins, sem lagði fram lagalega bindandi ákvörðun 4. október 2024.