

4 ottobre 2024
EMA/464087/2024

Sospensione del medicinale Oxbryta per il trattamento della malattia a cellule falciformi

Misura adottata a titolo precauzionale mentre è in corso il riesame dei dati emergenti

Il 26 settembre 2024 il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'EMA ha raccomandato la sospensione dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale contro la malattia a cellule falciformi Oxbryta (voxelotor); questa misura è stata adottata a titolo precauzionale mentre è in corso un riesame dei dati emergenti.

La raccomandazione ha fatto seguito ai dati sulla sicurezza emergenti provenienti da due studi basati su registri, che hanno indicato che i pazienti negli studi hanno registrato una maggiore frequenza di crisi vaso-occlusive (COV) durante il trattamento con Oxbryta rispetto a prima di iniziare ad assumere il medicinale. Le crisi vaso-occlusive sono tra le complicanze più comuni della malattia a cellule falciformi; comportano episodi di dolore acuto e possono portare a ulteriori complicazioni di salute, quali artrite, insufficienza della funzione renale e ictus.

Questi nuovi dati sulla sicurezza sono emersi mentre l'EMA stava già valutando i benefici e i rischi di Oxbryta nell'ambito di un [riesame](#) in corso, iniziato nel luglio 2024. Tale situazione si è determinata in quanto i dati di una sperimentazione clinica hanno mostrato che con Oxbryta si è verificato un numero più elevato di decessi rispetto al placebo (trattamento fittizio) e un'altra sperimentazione ha mostrato che il numero totale di decessi era superiore a quanto previsto.

In tale contesto, il CHMP ha ritenuto che, nel complesso, tali dati sollevano serie preoccupazioni in merito alla sicurezza di Oxbryta; a causa delle accresciute incertezze, ha pertanto raccomandato di sospendere l'autorizzazione, l'immissione in commercio e la fornitura del medicinale fino a quando tutti i dati disponibili non saranno stati valutati nell'ambito del riesame in corso.

Parallelamente, la ditta che commercializza Oxbryta ha deciso di ritirare e richiamare il medicinale da tutti i paesi in cui è disponibile e di interrompere le sperimentazioni cliniche in corso, l'uso compassionevole e i programmi di accesso precoce.

Mentre è in corso il riesame, l'EMA consiglia:

- ai medici di non iniziare a curare nuovi pazienti con Oxbryta;
- ai medici di contattare i pazienti attualmente trattati con Oxbryta per interrompere il trattamento e discutere le opzioni terapeutiche alternative;



- ai medici di continuare a monitorare i pazienti in caso di eventi avversi dopo l'interruzione del trattamento con Oxbryta;
- ai pazienti di consultare il medico prima di interrompere la terapia;
- ai pazienti che hanno domande di rivolgersi al proprio medico.

Raccomandazioni più dettagliate saranno inviate agli operatori sanitari che prescrivono, dispensano o somministrano il medicinale in una comunicazione rivolta agli operatori sanitari (DHPC), che sarà pubblicata anche sul [sito web dell'EMA](#).

La raccomandazione di sospensione dell'EMA è stata trasmessa alla Commissione europea, che ha emesso una decisione giuridicamente vincolante applicabile in tutti gli Stati membri dell'UE il 4 ottobre 2024.

L'EMA proseguirà il riesame di Oxbryta e pubblicherà una raccomandazione definitiva in tempo utile.

Maggiori informazioni sul medicinale

Oxbryta è un medicinale usato per trattare l'anemia emolitica (eccessiva degradazione dei globuli rossi) in pazienti di età pari o superiore a 12 anni affetti dalla malattia a cellule falciformi. Oxbryta può essere somministrato da solo o in associazione a un altro medicinale per la malattia a cellule falciformi denominato idrossicarbamide. Contiene il principio attivo voxelotor.

La malattia a cellule falciformi è una malattia genetica in cui i soggetti producono una forma anomala di emoglobina (la proteina presente nei globuli rossi che trasporta l'ossigeno). I globuli rossi diventano rigidi e viscosi e da una forma a disco assumono una forma a mezzaluna (come una falce).

Oxbryta ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 14 febbraio 2022.

Ulteriori informazioni sulla procedura

Il riesame di Oxbryta è stato avviato il 29 luglio 2024 su richiesta della Commissione europea, a norma [dell'articolo 20 del regolamento \(CE\) n. 726/2004](#).

Il riesame è effettuato dal comitato per i medicinali per uso umano (CHMP), responsabile per le questioni relative ai medicinali per uso umano, che adotterà il parere dell'Agenzia.

La raccomandazione del CHMP di sospendere Oxbryta mentre il riesame era in corso è stata inviata alla Commissione europea, che ha emesso una decisione giuridicamente vincolante il 4 ottobre 2024.