



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025 m. spalio 16 d.
EMA/298985/2025

EMA patvirtina, kad vaisto nuo pjautuvinės mažakraujystės Oxbryta registracijos pažymėjimo galiojimas yra sustabdytas

Naujausiuose tyrimuose nustatytas didesnis mirties atvejų ir ligos komplikacijų rodiklis reiškia, kad naudos ir rizikos santykis nebėra palankus.

2025 m. spalio 16 d. EMA Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) rekomendavo sustabdyti vaisto nuo pjautuvinės mažakraujystės Oxbryta registracijos pažymėjimo galiojimą. Ši rekomendacija priimta komitetui 2024 m. rugsėjo mėn. pritaikius laikinas priemones, kai jis laikinai sustabdė vaisto galiojimą, kad būtų peržiūrėti nauji saugumo duomenys.

Atlikęs vertinimą, CHMP padarė išvadą, kad šio vaisto teikiama nauda nebėra didesnė už jo keliamą riziką. Peržiūra pradėta, kai vieno klinikinio tyrimo¹ duomenys parodė, kad vartojant Oxbryta mirties atvejų buvo daugiau nei vartojant placebą (preparatą be veikliosios medžiagos), o kitame tyrime² nustatyta, kad mirties atvejų skaičius buvo didesnis, nei tikėtasi.

Atliekant pirmąjį tyrimą, kurio metu buvo vertinamas Oxbryta poveikis asmenims, kuriems diagnozuota pjautuvinė mažakraujystė ir kuriems nustatyta didesnė insulto rizika, mirė 8 Oxbryta gydyti vaikai, palyginti su 2 vaikais, kuriems buvo skiriamas placebo. Antrajame tyrime, kuriame buvo vertinamas vaisto poveikis kojų opoms – žinomai pjautuvinės mažakraujystės komplikacijai – per pirmąsias 12 gydymo savaitių Oxbryta grupėje mirė 1 asmuo, o placebo grupėje mirties atvejų nebuvo. Per vėlesnį 12 savaitių trukmės tyrimo etapą, kurio metu visi pacientai vartojo Oxbryta, pranešta apie dar 8 mirties atvejus. Tyrimai taip pat parodė, kad, palyginti su placebo vartojusiais pacientais, Oxbryta gydytiems pacientams pasireiškė daugiau staigių stipraus skausmo epizodų, įskaitant vazookliuzines krizes.

2024 m. rugsėjo 26 d. CHMP rekomendavo atsargumo sumetimais sustabdyti registracijos pažymėjimo galiojimą, kai buvo gauta daugiau duomenų iš dviejų registro duomenimis grindžiamų tyrimų, kurie parodė, kad pacientams vartojant Oxbryta pasireiškė daugiau staigaus skausmo epizodų, nei prieš pradedant gydymą šiuo vaistu. Tuo metu EMA teikė konsultacijas sveikatos priežiūros specialistams ir

¹ Global Blood Therapeutics. *GBT440-032 Phase 3 Study in Participants with Sickle Cell Disease (HOPE Kids 2)*. IRAS ID: 242661. EudraCT numeris: 2017-000903-26. REC nuoroda: 18/LO/0359. London - City & East Research Ethics Committee. Health Research Authority. Skelbiama adresu <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). EudraCT numeris: 2025-000161-87. ClinicalTrials.gov identifikavimo numeris: NCT05561140. Skelbiama adresu <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>.



pacientams, pabrėždama, kad Oxbryta nebeturėtų būti skiriamas ir kad esamiems pacientams turėtų būti taikomas alternatyvus gydymas.³

Nors galutinė registro duomenimis grindžiamų tyrimų analizė nepatvirtino staigaus skausmo epizodų padažnėjimo vartojant Oxbryta, neseniai atlikti klinikiniai tyrimai parodė, kad staigaus skausmo epizodų ir mirčių atvejų padaugėjo. Šie rezultatai neatitiko ankstesnio pagrindinio klinikinio tyrimo, kuriuo buvo grindžiamas Oxbryta registracijos pažymėjimas, rezultatų, kuriuose nebuvo pastebėta skirtumų tarp tiriamųjų grupių.

Atlikdamas peržiūrą, CHMP atkreipė dėmesį į tai, kad pagrindiniai mechanizmai, kurie lemia didesnę mirties atvejų ir komplikacijų, įskaitant staigaus skausmo epizodus, skaičių po gydymo Oxbryta atliekant tyrimus, tebėra neaiškūs. CHMP nerado aiškaus paaiškinimo, kodėl ši rizika padidėja, ir negalėjo nustatyti priemonių, kuriomis būtų galima veiksmingai sumažinti šią riziką, arba nurodyti pacientų pogrupių, kuriems vaisto teikiama nauda būtų didesnė už jo keliamą riziką. Dėl šių priežasčių CHMP padarė išvadą, kad Oxbryta naudos ir rizikos santykis nebėra palankus ir kad šio vaisto registracijos pažymėjimo galiojimas turi būti sustabdytas. Todėl sveikatos priežiūros specialistai toliau negalės Oxbryta skirti ES pacientams.

Rengdamas savo nuomonę CHMP taip pat atsižvelgė į šios srities ekspertų ir pacientų atstovų rekomendacijas ir konsultavosi su EMA saugumo komitetu (PRAC) dėl galimų rizikos mažinimo priemonių.

Daugiau informacijos apie vaistą

2022 m. vasario mėn. Oxbryta buvo registruotas pjautuvine mažakraujyste sergantiems 12 metų ir vyresniems pacientams hemolizinei anemijai (pernelyg dideliu raudonųjų kraujo ląstelių irimui) gydyti. Vaistas buvo skiriamas vienas arba kartu su kitu vaistu nuo pjautuvinės mažakraujystės – hidroksikarbamidu. Oxbryta sudėtyje yra veikliosios medžiagos vokselotoro.

Pjautuvinė mažakraujystė yra genetinė liga, kuria sergančių žmonių organizme gaminamas pakitusios formos hemoglobinas (raudonosiose kraujo ląstelėse esantis baltymas, kuris perneša deguonį). Raudonosios kraujo ląstelės tampa standžios, lipnios ir nebe disko, o pjautuvo formos.

Daugiau informacijos apie procedūrą

Oxbryta peržiūra buvo pradėta 2024 m. liepos 29 d. Europos Komisijos prašymu, vadovaujantis [Reglamento \(EB\) Nr. 726/2004 20 straipsniu](#).

Peržiūrą atliko Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP), kuris yra atsakingas už su žmonėms skirtais vaistais susijusius klausimus; jis priėmė Agentūros nuomonę.

CHMP nuomonė buvo persiųsta Europos Komisijai, kuri 2025 m. gruodžio 9 d. paskelbė visose ES valstybėse narėse taikytiną teisiškai privalomą galutinį sprendimą.

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