



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 ta' Ottubru 2025
EMA/298985/2025

L-EMA tikkonferma s-sospensjoni tal-medicina Oxbryta kontra l-marda tač-čelloli sickle

Rata oġhla ta' mewt u ta' kumplikazzjonijiet tal-mard fi provi rečenti tfisser li l-bilanč bejn il-benefiččju u r-riskju ma għadux favorevoli

Fis-16 ta' Ottubru 2025, il-kumitat għall-medicini għall-użu mill-bniedem (CHMP) tal-EMA rrakkomanda li l-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq tal-medicina Oxbryta kontra l-marda tač-čelloli sickle tibqa' sospiža. Din ir-rakkomandazzjoni segwiet miżuri interim meħuda mill-Kumitat f'Settembru 2024, meta ssospenda temporanjament il-medicina biex jirrieżamina *data* emergenti dwar is-sigurtà.

Wara l-valutazzjoni tiegħu, is-CHMP ikkonkluda li l-benefiččji tal-medicina ma għadhomx jisbqu r-riskji tagħha. Ir-rieżami nbeda wara li d-*data* wriet numru akbar ta' mwiet b'Oxbryta milli bil-plačebo (trattament fint) fi prova klinika waħda¹ u numru akbar minn dak antičipat ta' mwiet fi prova oħra.²

Fl-ewwel studju, li vvaluta l-effett ta' Oxbryta f'persuni bil-marda tač-čelloli sickle (sickle cell disease) li kienu f'riskju akbar ta' puplesija, mietu 8 itfal trattati b'Oxbryta, meta mqabbla ma' 2 itfal li rčevew trattament bil-plačebo. Fit-tieni studju, li evalwa l-effett tal-medicina fuq ulčeri fir-riglejn, kumplikazzjoni magħrufa tal-marda tač-čelloli sickle, persuna waħda mietet fil-grupp ta' Oxbryta matul l-ewwel 12-il ġimgħa ta' trattament, filwaqt li ma seħhet l-ebda mewta fil-grupp tal-plačebo. Fil-fażi ta' 12-il ġimgħa ta' wara tal-istudju, fejn il-pazjenti kollha rčevew Oxbryta, ġew irrapporati 8 imwiet addizzjonali. L-istudji wrew ukoll għadd akbar ta' episodji f'daqqa ta' wġiġħ sever, inklużi kriżijiet vażookkluzivi (VOC, vaso-occlusive crises) fost pazjenti trattati b'Oxbryta meta mqabbla ma' dawk li kienu qed jirčievu plačebo.

Fis-26 ta' Settembru 2024, is-CHMP irrakkomanda s-sospensjoni tal-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq bħala miżura ta' prekawzjoni meta ħarġet aktar *data* minn żewġ studji bbażati fuq ir-reġistru, li tindika li l-pazjenti esperjenzaw frekwenza oġhla ta' episodji ta' wġiġħ f'daqqa b'Oxbryta milli qabel ma bdew it-trattament. Dak iż-żmien, l-EMA pprovdiet pariri lill-professionisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa

¹ Global Blood Therapeutics. *GBT440-032 Phase 3 Study in Participants with Sickle Cell Disease (HOPE Kids 2)*. ID tal-IRAS: 242661. Numru tal-EudraCT: 2017-000903-26. Referenza tar-REC: 18/LO/0359. London - City & East Research Ethics Committee. Health Research Authority. Disponibbli fuq: <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 Prova ta' Fażi 3, *Multicentrika, Randomizzata, Double-Blind, Ikkontrollata bi Plačebo biex tiġi Evalwata l-Effikačja ta' Voxelotor għat-Trattament tal-Ulčeri tar-Riglejn f'Pazjenti bil-Marda tač-čelloli Sick (RESOLVE)*. Numru tal-EudraCT: 2025-000161-87. Identifikatur ta' ClinicalTrials.gov: NCT05561140. Disponibbli fuq: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



u lill-pazjenti, u enfasizzat li Oxbryta ma għandux jibqa' jigi preskritt u li l-pazjenti eżistenti għandhom jinqalbu għal trattament alternattiv.³

Għalkemm l-analiżi finali tal-istudji tar-reġistru ma kkonfermatx żieda fl-episodji ta' wġiġh f'daqqa b'Oxbryta, il-provi kliniċi reċenti wrew tabilhaqq aktar episodji ta' wġiġh f'daqqa u mwiet. Dawn ir-riżultati kienu inkonsistenti ma' daww tal-prova klinika ewlenija preċedenti li appoġġat l-awtorizzazzjoni ta' Oxbryta, li ma kinitx uriet differenza bejn il-gruppi ta' trattament.

Fir-rieżami tiegħu, is-CHMP innota li l-mekkaniżmi sottostanti għaż-żieda fl-għadd ta' mwiet u kumplikazzjonijiet, inklużi episodji ta' wġiġh f'daqqa, wara t-trattament b'Oxbryta fl-istudji għadhom mhumiex ċari. Is-CHMP ma sab l-ebda spjegazzjoni ċara għaż-żieda fir-riskji u ma setax jidentifika miżuri biex jimminimizza b'mod effettiv dawn ir-riskji jew kwalunkwe sottogrupp ta' pazjenti li għalihom il-benefiċċji tal-medicina jegħlbu r-riskji tagħha. Bħala riżultat, is-CHMP ikkonkluda li l-bilanċ bejn il-benefiċċju u r-riskju ta' Oxbryta ma għadux favorevoli, u s-sospensjoni tal-awtorizzazzjoni għat-tqeghid fis-suq tal-medicina għandha tibqa' fis-seħh. Għaldaqstant Oxbryta se jibqa' mhux disponibbli għall-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa biex jippreskrivu lill-pazjenti fl-UE.

Sabiex wasal għall-opinjoni tiegħu, is-CHMP ikkunsidra wkoll parir minn esperti fil-qasam kif ukoll minn rappreżentanti tal-pazjenti u kkonsulta lill-kumitat tas-sigurtà (PRAC) tal-EMA dwar miżuri potenzjali ta' minimizzazzjoni tar-riskju.

Aktar dwar il-medicina

Oxbryta ġie awtorizzat fi Frar 2022 biex jitratta l-anemija emolitika (tkissir eċċessiv taċ-ċelloli ħomor tad-demm) f'pazjenti minn 12-il sena 'l fuq li għandhom il-marda taċ-ċelloli sickle. Inghata waħdu jew flimkien ma' medicina oħra għall-marda taċ-ċelloli sickle msejja hydroxycarbamide. Oxbryta fih is-sustanza attiva voxelotor.

Il-marda taċ-ċelloli sickle hija marda ġenetika fejn l-individwi jipproduċu forma anormali ta' emoglobina (il-proteina fiċ-ċelloli ħomor tad-demm li ġġorr l-ossigenu). Iċ-ċelloli ħomor tad-demm isiru riġidi u jwaħħlu, u jinbidlu minn forma ta' diska għal forma ta' nofs qamar (simili għal mingel).

Aktar dwar il-proċedura

Ir-rieżami ta' Oxbryta nbeda fid-29 ta' Lulju 2024 fuq talba tal-Kummissjoni Ewropea, skont l-[Artikolu 20 tar-Regolament \(KE\) Nru 726/2004](https://www.ema.europa.eu/en/documents/referral/oxbryta-article-20-procedure-suspension-sickle-cell-disease-medicine-oxbryta_en.pdf).

Ir-rieżami sar mill-Kumitat għall-Prodotti Medicinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP), responsabbli għal mistoqsijiet dwar medicini għall-użu mill-bniedem, li adotta l-opinjoni tal-Aġenzija.

L-opinjoni tas-CHMP intbagħtet lill-Kummissjoni Ewropea, li f'haġet deċiżjoni finali legalment vinkolanti applikabbli fl-Istati Membri kollha tal-UE fid-9 ta' Diċembru 2025.

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