



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 oktober 2025
EMA/298985/2025

EMA bevestigt schorsing van geneesmiddel Oxbryta tegen sikkelcelziekte

Hoger sterftecijfer en ziektecomplicaties in recente onderzoeken betekenen dat de baten-risicoverhouding niet langer gunstig is

Op 16 oktober 2025 adviseerde het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het EMA om de schorsing van de vergunning voor het in de handel brengen van het geneesmiddel voor sikkelcelziekte Oxbryta te handhaven. Deze aanbeveling volgde op tussentijdse maatregelen die het CHMP in september 2024 had genomen, toen het CHMP dit geneesmiddel tijdelijk schorste om nieuwe veiligheidsgegevens te beoordelen.

Na zijn beoordeling concludeerde het CHMP dat de voordelen van het geneesmiddel niet langer opwegen tegen de risico's ervan. De beoordeling werd gestart nadat gegevens in één klinisch onderzoek een hoger aantal sterfgevallen bij gebruik van Oxbryta dan bij placebo (een schijnbehandeling)¹ en een hoger dan verwacht aantal sterfgevallen in een ander onderzoek lieten zien.²

In de eerste studie, waarin het effect van Oxbryta werd beoordeeld bij personen met sikkelcelziekte die een hoger risico op een beroerte liepen, overleden 8 kinderen die met Oxbryta werden behandeld, tegenover 2 kinderen die een placebobehandeling kregen. In de tweede studie, waarin het effect van het geneesmiddel op beenzweren, een bekende complicatie van sikkelcelziekte, werd beoordeeld, overleed één persoon in de Oxbryta-groep tijdens de eerste twaalf weken van de behandeling, terwijl zich in de placebogroep geen sterfgevallen voordeden. In de volgende twaalf weken durende fase van de studie, waarbij alle patiënten Oxbryta kregen, werden acht extra sterfgevallen gemeld. De studies lieten ook een groter aantal plotselinge episoden van ernstige pijn zien, waaronder vaso-occlusieve crises (VOC) onder patiënten die met Oxbryta werden behandeld ten opzichte van patiënten die placebo kregen.

Op 26 september 2024 adviseerde het CHMP de vergunning voor het in de handel brengen uit voorzorg te schorsen toen verdere gegevens van twee op registers gebaseerde studies beschikbaar kwamen,

¹ Global Blood Therapeutics. *Fase 3-studie GBT440-032 bij deelnemers met sikkelcelziekte (HOPE Kids 2)*; IRAS-ID: 242661. EudraCT-nummer: 2017-000903-26. REC-referentie: 18/LO/0359. London - City & East Research Ethics Committee. Health Research Authority. Beschikbaar op: <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 Een multicentrisch, gerandomiseerd, dubbelblind, placebogecontroleerd fase 3-onderzoek ter beoordeling van de werkzaamheid van Voxelotor voor de behandeling van beenzweren bij patiënten met sikkelcelziekte (RESOLVE). EudraCT-nummer: 2025-000161-87. ClinicalTrials.gov Identifier: NCT05561140. Beschikbaar op: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



wat erop wijst dat patiënten bij gebruik van Oxbryta vaker last hadden van plotselinge pijnepisoden dan voordat de behandeling werd gestart. Op dat moment verstrekten het EMA advies aan professionele zorgverleners en patiënten, waarbij werd benadrukt dat Oxbryta niet langer mocht worden voorgeschreven en dat bestaande patiënten moeten worden overgezet op een alternatieve behandeling.³

Hoewel de definitieve analyse van de registerstudies een toename van plotselinge pijnepisoden met Oxbryta niet bevestigde, lieten de recente klinische onderzoeken wel meer plotselinge pijnepisoden en sterfgevallen zien. Deze resultaten waren niet in overeenstemming met die van het eerdere klinische hoofdonderzoek ter ondersteuning van de toelating van Oxbryta, dat geen verschil tussen behandelingsgroepen had laten zien.

In zijn beoordeling merkte het CHMP op dat de onderliggende mechanismen voor het toegenomen aantal sterfgevallen en complicaties, waaronder plotselinge pijnepisoden, na behandeling met Oxbryta in de studies onduidelijk blijven. Het CHMP vond geen duidelijke verklaring voor de verhoogde risico's en kon geen maatregelen vaststellen om deze risico's effectief tot een minimum te beperken, noch een subgroep van patiënten voor wie de voordelen van het geneesmiddel zouden opwegen tegen de risico's ervan. Als gevolg hiervan concludeerde het CHMP dat de baten-risicoverhouding van Oxbryta niet langer gunstig is en dat de schorsing van de vergunning voor het in de handel brengen van het geneesmiddel van kracht moet blijven. Oxbryta blijft daarom niet beschikbaar voor professionele zorgverleners om aan patiënten in de EU voor te schrijven.

Bij het opstellen van zijn advies heeft het CHMP ook rekening gehouden met het advies van deskundigen op dit gebied en van patiëntenvertegenwoordigers en het Risicobeoordelingscomité voor geneesmiddelenbewaking (PRAC) van het EMA geraadpleegd over mogelijke risicobeperkende maatregelen.

Meer over het geneesmiddel

Oxbryta werd in februari 2022 goedgekeurd voor de behandeling van hemolytische anemie (overmatige afbraak van rode bloedcellen) bij patiënten van 12 jaar en ouder met sikkelcelziekte. Het middel werd als monotherapie of in combinatie met een ander geneesmiddel voor sikkelcelziekte, hydroxycarbamide, toegediend. Oxbryta bevat de werkzame stof voxelotor.

Sikkelcelziekte is een genetische aandoening waarbij personen hemoglobine (het eiwit in rode bloedcellen dat zuurstof vervoert) met een afwijkende vorm aanmaken. De rode bloedcellen worden stijf en plakkerig en veranderen van schijfjes in halvemaanvormige cellen (die lijken op sikkels).

Meer over de procedure

De beoordeling van Oxbryta werd op 29 juli 2024 op verzoek van de Europese Commissie in gang gezet krachtens [artikel 20 van Verordening \(EG\) nr. 726/2004](#).

De beoordeling werd uitgevoerd door het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP), dat verantwoordelijk is voor vraagstukken met betrekking tot geneesmiddelen voor menselijk gebruik. Het CHMP heeft het advies van het Geneesmiddelenbureau overgenomen.

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

Het advies van het CHMP werd doorgestuurd naar de Europese Commissie, die op 9 december 2025 een definitief juridisch bindend besluit nam dat in alle EU-lidstaten van toepassing is.