



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

4 oktober 2024
EMA/464087/2024

Opschorting van het geneesmiddel tegen sikkelcelziekte Oxbryta

Uit voorzorg genomen maatregel terwijl de beoordeling van nieuwe gegevens gaande is

Op 26 september 2024 heeft het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Geneesmiddelenbureau aanbevolen om de vergunning voor het in de handel brengen van het geneesmiddel voor sikkelcelziekte Oxbryta (voxelotor) op te schorten; deze maatregel is uit voorzorg genomen terwijl een beoordeling van nieuwe gegevens nog gaande is.

De aanbeveling volgde op nieuwe veiligheidsgegevens uit twee op gegevensregistratie gebaseerde studies, die erop wezen dat patiënten in de studies vaker vaso-occlusieve crises (VOC) hadden tijdens de behandeling met Oxbryta dan voordat ze dit geneesmiddel kregen toegediend. Vaso-occlusieve crises behoren tot de meest voorkomende complicaties van sikkelcelziekte; ze gaan gepaard met episoden van acute pijn en ze kunnen leiden tot verdere gezondheidscomplicaties zoals artritis, nierfalen en beroerte.

Deze nieuwe veiligheidsgegevens kwamen aan het licht terwijl het Geneesmiddelenbureau de voordelen en risico's van Oxbryta al aan het evalueren was in het kader van een lopende [beoordeling](#) die in juli 2024 van start is gegaan. Deze werd in gang gezet omdat uit gegevens van een klinische proef bleek dat bij gebruik van Oxbryta een groter aantal sterfgevallen optrad dan bij placebo (schijnbehandeling); uit een andere proef bleek dat het totale aantal sterfgevallen groter was dan verwacht.

In dit verband was het CHMP van mening dat deze gegevens in het algemeen aanleiding geven tot ernstige bezorgdheid over de veiligheid van Oxbryta; vanwege de toegenomen onzekerheid heeft het CHMP daarom aanbevolen de vergunning, het in de handel brengen en de levering van het geneesmiddel op te schorten totdat alle beschikbare gegevens tijdens de lopende beoordeling zijn geëvalueerd.

Tegelijkertijd heeft het bedrijf dat Oxbryta in de handel brengt, besloten het geneesmiddel uit alle landen waar het verkrijgbaar is, in te trekken en terug te roepen, en de lopende klinische proeven, het gebruik met speciale toestemming en het programma voor vroegtijdige toegang stop te zetten.

Hoewel de beoordeling nog niet is afgerond, beveelt het Geneesmiddelenbureau het volgende aan:

- artsen mogen Oxbryta niet toedienen aan nieuwe patiënten;



- artsen moeten contact opnemen met patiënten die momenteel met Oxbryta worden behandeld om de behandeling stop te zetten en alternatieve behandelingsopties bespreken;
- artsen moeten patiënten blijven controleren op ongewenste voorvallen nadat de behandeling met Oxbryta is stopgezet;
- patiënten moeten contact opnemen met hun arts voordat ze met hun geneesmiddel stoppen;
- patiënten die vragen hebben, dienen contact op te nemen met hun arts.

Uitgebreidere aanbevelingen zullen worden toegezonden aan professionele zorgverleners die het geneesmiddel voorschrijven, verstrekken of toedienen in een rechtstreeks schrijven aan professionele zorgverleners. Dit schrijven zal ook op de [website van het Geneesmiddelenbureau](#) worden gepubliceerd.

De aanbeveling van het Geneesmiddelenbureau tot opschorting is doorgestuurd naar de Europese Commissie die op 4 oktober 2024 een juridisch bindend besluit heeft uitgevaardigd dat van toepassing is in alle EU-lidstaten.

Het Geneesmiddelenbureau zal zijn beoordeling van Oxbryta voortzetten en te zijner tijd een definitieve aanbeveling uitbrengen.

Meer over het geneesmiddel

Oxbryta is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van hemolytische anemie (overmatige afbraak van rode bloedcellen) bij patiënten van 12 jaar en ouder met sikkelcelziekte. Oxbryta kan als monotherapie worden gebruikt of worden gecombineerd met hydroxycarbamide, een ander geneesmiddel voor sikkelcelziekte. Het 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).

Op 14 februari 2022 is een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Oxbryta verleend.

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 wordt uitgevoerd door het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) dat verantwoordelijk is voor alle vraagstukken met betrekking tot geneesmiddelen voor menselijk gebruik en dat het advies van het Geneesmiddelenbureau zal goedkeuren.

De aanbeveling van het CHMP om Oxbryta op te schorten zolang de beoordeling loopt, werd toegezonden aan de Europese Commissie die op 4 oktober 2024 een juridisch bindend besluit heeft genomen.