



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. oktober 2025
EMA/298985/2025

EMA bekrefter at legemiddelet for sigdcellesykdom Oxbryta suspenderes

Høyere forekomst av dødsfall og sykdomskomplikasjoner i nyere studier betyr at nytte–risiko-forholdet ikke lenger er gunstig.

Den 16. oktober 2025 anbefalte EMAs komité for legemidler til mennesker (CHMP) at markedsføringstillatelsen for legemiddelet for sigdcellesykdom Oxbryta forblir suspendert. Denne anbefalingen fulgte midlertidige tiltak som komiteen iverksatte i september 2024, da komiteen midlertidig suspenderte legemiddelet for å gjennomgå nye sikkerhetsdata.

Etter sin vurdering konkluderte CHMP med at nytten ved legemiddelet ikke lenger oppveier risikoen. Gjennomgangen ble igangsatt etter at data viste et høyere antall dødsfall med Oxbryta enn med placebo (en blindbehandling) i en klinisk studie¹ og et høyere antall dødsfall enn forventet i en annen studie.²

I den første studien, som vurderte effekten av Oxbryta hos personer med sigdcelleanemi som hadde høyere risiko for hjerneslag, døde åtte barn som ble behandlet med Oxbryta, sammenlignet med to barn som fikk placebo. I den andre studien, som evaluerte effekten av legemiddelet på beinsår, en kjent komplikasjon ved sigdcelleanemi, døde én person i Oxbryta-gruppen i løpet av de første 12 ukene av behandlingen, mens det ikke forekom dødsfall i placebogruppen. I den påfølgende 12-ukers fasen av studien, der alle pasientene fikk Oxbryta, ble det rapportert ytterligere åtte dødsfall. Studiene viste også et høyere antall plutselige episoder med sterke smerter, deriblant vaso-okklusive kriser (VOC), blant pasienter som ble behandlet med Oxbryta sammenlignet med pasienter som fikk placebo.

Den 26. september 2024 anbefalte CHMP å suspendere markedsføringstillatelsen som et forsiktighetstiltak når ytterligere data fra to registerbaserte studier dukket opp, noe som indikerer at pasienter opplevde en høyere frekvens av plutselige smerteepisoder med Oxbryta enn før behandlingsstart. På det tidspunktet ga EMA råd til helsepersonell og pasienter, og understreket at

¹ Global Blood Therapeutics. GBT440-032 Fase 3-studie med deltakere med sigdcellesykdom (HOPE Kids 2). IRAS-ID: 242661. EudraCT-nummer: 2017-000903-26. REC-referanse: 18/LO/0359. London - City & East Research Ethics Committee. Health Research Authority. Tilgjengelig på: <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 En randomisert, dobbeltblindet, placebokontrollert fase 3-multisenterstudie for å evaluere effekten av vokselotor for behandling av beinsår hos pasienter med sigdcelleanemi (RESOLVE). EudraCT-nummer: 2025-000161-87. ClinicalTrials.gov-identifikator: NCT05561140. Tilgjengelig på: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



Oxbryta ikke lenger skulle forskrives, og at eksisterende pasienter skulle bytte til en alternativ behandling.³

Selv om den endelige analysen av registerstudiene ikke bekreftet en økning i plutselige smerteepisoder med Oxbryta, viste de nylige kliniske studiene flere plutselige smerteepisoder og dødsfall. Disse resultatene stemte ikke overens med resultatene fra den tidligere kliniske hovedstudien som støttet godkjenningen av Oxbryta, som ikke hadde vist noen forskjell mellom behandlingsgruppene.

I sin gjennomgang bemerket CHMP at de underliggende mekanismene for det økte antallet dødsfall og komplikasjoner, deriblant plutselige smerteepisoder, etter behandling med Oxbryta i studiene fortsatt er uklare. CHMP fant ingen klar forklaring på den økte risikoen og kunne ikke identifisere tiltak for effektivt å minimere denne risikoen eller noen undergruppe av pasienter som nytten ved legemiddelet ville oppveie risikoen for. CHMP konkluderte følgelig med at nytte-risiko-forholdet for Oxbryta ikke lenger er gunstig, og at suspensjonen av markedsføringstillatelsen for legemiddelet bør opprettholdes. Oxbryta vil derfor fortsatt ikke kunne forskrives av helsepersonell til pasienter i EU.

I sin vurdering tok CHMP også hensyn til råd fra eksperter på området og pasientrepresentanter, og konsulterte EMAs sikkerhetskomité (PRAC) om mulige tiltak for å minimere risikoen.

Mer om legemiddelet

Oxbryta ble godkjent i februar 2022 til å behandle hemolytisk anemi (kraftig nedbrytning av røde blodlegemer) hos pasienter fra 12 år som har sigdcellesykdom. Legemiddelet ble gitt alene eller sammen med et annet legemiddel for sigdcellesykdom som kalles hydroksykarbamid. Oxbryta inneholder virkestoffet vokselotor.

Sigdcellesykdom er en genetisk sykdom der personer produserer en unormal form for hemoglobin (proteinet i røde blodlegemer som bærer oksygen). De røde blodlegemene blir stive og klebrige, og går fra å være skiveformede til å bli halvmåneformede (som en sigd).

Mer om prosedyren

Gjennomgangen av Oxbryta ble innledet 29. juli 2024 etter anmodning fra Europakommisjonen i henhold til [artikkel 20 i forordning \(EF\) nr. 726/2004](#).

Gjennomgangen ble utført av EMAs komité for legemidler til mennesker (CHMP), som er ansvarlig for spørsmål knyttet til legemidler til mennesker, som vedtok byråets uttalelse.

CHMPs uttalelse ble oversendt EU-kommisjonen, som tok en endelig rettslig bindende avgjørelse gjeldende i alle EUs medlemsland 9. desember 2025.

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