



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 października 2025 r.
EMA/298985/2025

EMA potwierdza zawieszenie dopuszczenia do obrotu leku Oxbryta stosowanego w leczeniu anemii sierpowatej

Wyższy wskaźnik zgonów i powikłań choroby w ostatnich badaniach oznacza, że stosunek korzyści do ryzyka nie jest już pozytywny

W dniu 16 października 2025 r. Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) przy EMA zalecił utrzymanie zawieszenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu leku Oxbryta stosowanego w leczeniu anemii sierpowatej. Zalecenie to było następstwem środków tymczasowych zastosowanych przez Komitet we wrześniu 2024 r., kiedy tymczasowo zawiesił on pozwolenie na dopuszczenie leku do obrotu w celu dokonania przeglądu pojawiających się danych o bezpieczeństwie stosowania leku.

Po przeprowadzeniu oceny CHMP uznał, że korzyści ze stosowania leku nie przewyższają już ryzyka. Przegląd rozpoczął po tym, jak dane wykazały wyższą liczbę zgonów w grupie otrzymującej lek Oxbryta w porównaniu z grupą placebo (leczenia pozorowanego) w jednym z badań klinicznych¹ oraz wyższą od spodziewanej liczbę zgonów w innym badaniu².

W pierwszym badaniu, w którym oceniano działanie leku Oxbryta u osób z anemią sierpowatą narażonych na większe ryzyko udaru mózgu, zmarło 8 dzieci otrzymujących lek Oxbryta — w porównaniu ze zgonem 2 dzieci, które otrzymały leczenie placebo. W drugim badaniu, w którym oceniano wpływ leku na owrzodzenia nogi, znane powikłanie anemii sierpowatej, w ciągu pierwszych 12 tygodni leczenia w grupie leku Oxbryta zmarła jedna osoba, a w grupie placebo nie odnotowano żadnego zgonu. W następnej 12-tygodniowej fazie badania, w której wszyscy pacjenci otrzymali lek Oxbryta, zgłoszono 8 kolejnych zgonów. Badania wykazały również większą liczbę nagłych epizodów silnego bólu, w tym przełomów naczyniowo-okluzyjnych (VOC), u pacjentów otrzymujących lek Oxbryta w porównaniu z pacjentami otrzymującymi placebo.

W dniu 26 września 2024 r. CHMP zalecił jako środek ostrożności zawieszenie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w związku z pojawieniem się dalszych danych z dwóch badań rejestrowych. Dane te wskazywały, że u pacjentów otrzymujących lek Oxbryta, w porównaniu z okresem sprzed

¹ Global Blood Therapeutics. GBT440-032, badanie fazy III u uczestników z anemią sierpowatą (badanie HOPE Kids 2). Numer identyfikacyjny IRAS: 242661. Numer EudraCT: 2017-000903-26. Znak REC: 18/LO/0359. Londyn, komisja bioetyczna ds. badań naukowych dla obszarów City i East [ang. London — City & East Research Ethics Committee]. Health Research Authority. Informacje dostępne pod adresem: <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 Wieloośrodkowe, randomizowane badanie fazy III prowadzone metodą podwójnie ślepej próby z grupą kontrolną otrzymującą placebo, oceniające skuteczność wokselotoru w leczeniu owrzodzeń nogi u pacjentów z anemią sierpowatą (badanie RESOLVE). Numer EudraCT: 2025-000161-87. Identyfikator ClinicalTrials.gov: NCT05561140. Informacje dostępne pod adresem: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



rozpoczęcia leczenia, częstość występowania nagłych epizodów bólu była wyższa. W tym czasie EMA przekazała pracownikom opieki zdrowotnej i pacjentom zalecenia podkreślające, że lek Oxbryta nie powinien być już przepisywany, a leczeni nim pacjenci powinni przejść na inną terapię³.

Chociaż ostateczna analiza badań rejestrowych nie potwierdziła wzrostu liczby nagłych epizodów bólu w przypadku leku Oxbryta, ostatnie badania kliniczne wykazały więcej nagłych epizodów bólu i zgonów. Wyniki te były niespójne z wynikami wcześniejszego głównego badania klinicznego przedłożonymi na poparcie wniosku o dopuszczenie leku Oxbryta do obrotu — w badaniu tym nie występowały różnice między grupami leczenia.

W swoim przeglądzie CHMP zauważył, że mechanizmy leżące u podstaw zwiększonej liczby zgonów i powikłań, w tym nagłych epizodów bólu, po zastosowaniu leku Oxbryta w badaniach pozostają niejasne. CHMP nie znalazł wyjaśnienia zwiększonego ryzyka i nie był w stanie zidentyfikować środków mających na celu skuteczne zminimalizowanie tego ryzyka ani podgrupy pacjentów, u których korzyści ze stosowania leku przewyższałyby ryzyko. W rezultacie CHMP uznał, że stosunek korzyści do ryzyka w przypadku leku Oxbryta nie jest już pozytywny, a zawieszenie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu leku powinno być utrzymane. W związku z tym pracownicy opieki zdrowotnej nie będą mogli przepisywać leku Oxbryta pacjentom w UE.

Przy wydawaniu opinii CHMP wziął również pod uwagę porady ekspertów w dziedzinie, a także przedstawicieli pacjentów oraz skonsultował się z działającym przy EMA komitetem ds. bezpieczeństwa (PRAC) w sprawie potencjalnych środków minimalizacji ryzyka.

Więcej informacji o leku

Lek Oxbryta został dopuszczony do obrotu w lutym 2022 r. do leczenia niedokrwistości hemolitycznej (nadmiernego rozpadu krwinek czerwonych) u pacjentów w wieku 12 lat i starszych z anemią sierpowatą. Lek podawano w monoterapii albo w skojarzeniu z innym lekiem stosowanym w leczeniu anemii sierpowatej, zwanym hydroksykarbamidem. Substancją czynną zawartą w leku Oxbryta jest wokseltor.

Anemia sierpowata jest chorobą genetyczną, w przebiegu której w organizmie powstaje nieprawidłowa postać hemoglobiny (białka zawartego w krwinkach czerwonych, które przenosi tlen). Krwinki czerwone stają się sztywne i lepkie oraz zmieniają swój kształt z dysku na półksiężyc (podobny do sierpa).

Więcej informacji o procedurze

Procedurę oceny leku Oxbryta wszczęto 29 lipca 2024 r. na wniosek Komisji Europejskiej, zgodnie z [art. 20 rozporządzenia \(WE\) nr 726/2004](https://www.ema.europa.eu/en/documents/referral/oxbryta-article-20-procedure-suspension-sickle-cell-disease-medicine-oxbryta_en.pdf).

Ocenę przeprowadził CHMP, odpowiedzialny za kwestie związane z lekami stosowanymi u ludzi, który przyjął stanowisko Agencji w tej sprawie.

Opinia CHMP została przekazana Komisji Europejskiej, która w dniu 9 grudnia 2025 r. wydała ostateczną, prawnie wiążącą decyzję mającą zastosowanie we wszystkich państwach członkowskich UE.

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