



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

4 października 2024 r.
EMA/464087/2024

Zawieszenie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu leku Oxbryta stosowanego w leczeniu niedokrwistości sierpowatokrwinkowej

Środek podjęty jako środek zapobiegawczy w trakcie dokonywania ponownej
oceny pojawiających się danych

W dniu 26 września 2024 r. działający przy EMA Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) zalecił zawieszenie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu leku Oxbryta (wokselotor) stosowanego w leczeniu niedokrwistości sierpowatokrwinkowej; środek ten przyjęto jako środek zapobiegawczy na czas trwania ponownej oceny pojawiających się danych.

Zalecenie to było wynikiem pojawiających się danych dotyczących bezpieczeństwa, pochodzących z dwóch badań opartych na rejestrach, które wskazywały, że u pacjentów uczestniczących w badaniach w większym stopniu występowały zatory naczyniowe (ang. *vaso-occlusive crises*, VOC) w trakcie stosowania leku Oxbryta niż przed rozpoczęciem podawania leku. Zatory naczyniowe są jednymi z najczęstszych powikłań niedokrwistości sierpowatokrwinkowej; są to epizody ostrego bólu i mogą prowadzić do dalszych powikłań zdrowotnych, takich jak zapalenie stawów, niewydolność nerek i udar.

Nowe dane dotyczące bezpieczeństwa pojawiły się, gdy EMA dokonywała już ponownej oceny korzyści i ryzyka związanych ze stosowaniem leku Oxbryta w ramach trwającej [ponownej oceny](#), która rozpoczęła się w lipcu 2024 r. Została ona zainicjowana, ponieważ dane z badania klinicznego wykazały, że w przypadku stosowania leku Oxbryta wystąpiła większa liczba zgonów niż w przypadku placebo (leczenie pozorowane), a inne badanie wykazało, że całkowita liczba zgonów była wyższa niż przewidywano.

W tym kontekście CHMP uznał, że ogólnie dane te budzą poważne obawy co do bezpieczeństwa stosowania leku Oxbryta; ze względu na zwiększoną niepewność komitet zalecił zatem zawieszenie dopuszczenia do obrotu i dostaw leku do czasu przeprowadzenia oceny wszystkich dostępnych danych w ramach trwającej ponownej oceny.

Jednocześnie firma wprowadzająca lek Oxbryta do obrotu podjęła decyzję o wycofaniu leku ze wszystkich krajów, w których jest on dostępny, oraz o zaprzestaniu trwających badań klinicznych, indywidualnego stosowania i programów wczesnego dostępu.

Podczas trwającej ponownej oceny EMA zaleca, aby:

- lekarze nie rozpoczynali stosowania leku Oxbryta u nowych pacjentów;



- lekarze skontaktowali się z pacjentami obecnie otrzymującymi lek Oxbryta w celu przerwania leczenia i omówienia alternatywnych opcji leczenia;
- lekarze nadal monitorowali pacjentów pod kątem wystąpienia zdarzeń niepożądanych po zaprzestaniu stosowania leku Oxbryta;
- pacjenci skonsultowali się ze swoim lekarzem przed przerwaniem stosowania leku;
- pacjenci, którzy mają jakiegokolwiek pytania, porozmawiali ze swoim lekarzem.

Bardziej szczegółowe zalecenia dla pracowników opieki zdrowotnej przepisujących, wydających lub podających lek zostaną przesłane w bezpośrednim komunikacie dla pracowników opieki zdrowotnej (DHPC). Komunikat ten zostanie również opublikowany na [stronie internetowej EMA](#).

Zalecenie EMA dotyczące zawieszenia przekazano Komisji Europejskiej, która w dniu 4 października 2024 r. wydała prawnie wiążącą decyzję mającą zastosowanie we wszystkich państwach członkowskich UE.

EMA będzie kontynuować ponowną ocenę leku Oxbryta i w stosownym czasie wyda ostateczne zalecenie.

Więcej informacji o leku

Oxbryta jest lekiem stosowanym w leczeniu niedokrwistości hemolitycznej (nadmierny rozpad krwinek czerwonych) u pacjentów w wieku od 12 lat z niedokrwistością sierpowatokrwinkową. Lek Oxbryta można podawać w monoterapii lub w skojarzeniu z innym lekiem stosowanym w leczeniu niedokrwistości sierpowatokrwinkowej, zwanym hydroksymocznikiem. Substancją czynną zawartą w leku jest wokseltor.

Niedokrwistość sierpowatokrwinkowa jest chorobą genetyczną, w przebiegu której organizm wytwarza wadliwą postać hemoglobiny (białko występujące w krwinkach czerwonych, które przenosi tlen). Krwinki czerwone stają się sztywne i lepkie, a ich kształt zmienia się z postaci dysku na półksiężyc (sierp).

Lek Oxbryta otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 14 lutego 2022 r.

Więcej informacji o procedurze

Procedurę ponownej oceny leku Oxbryta wszczęto w dniu 29 lipca 2024 r. na wniosek Komisji Europejskiej, zgodnie z [art. 20 rozporządzenia \(WE\) nr 726/2004](#).

Ponowna ocena jest prowadzona przez Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP), odpowiedzialny za kwestie dotyczące leków stosowanych u ludzi, który przyjmie opinię Agencji.

Zalecenie CHMP dotyczące zawieszenia stosowania leku Oxbryta w trakcie trwającej ponownej oceny przesłano do Komisji Europejskiej, która w dniu 4 października 2024 r. wydała prawnie wiążącą decyzję.