



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 de outubro de 2025
EMA/298985/2025

A EMA confirma a suspensão do medicamento para a doença de células falciformes Oxbryta

A taxa mais elevada de mortes e de complicações da doença em ensaios recentes significa que a relação benefício-risco deixou de ser favorável

Em 16 de outubro de 2025, o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da EMA recomendou que a autorização de introdução no mercado do medicamento para a doença de células falciformes Oxbryta permanecesse suspensa. Esta recomendação seguiu-se às medidas provisórias adotadas pelo Comité em setembro de 2024, quando suspendeu temporariamente o medicamento para analisar dados de segurança emergentes.

Na sequência da sua avaliação, o CHMP concluiu que os benefícios do medicamento já não são superiores aos seus riscos. A revisão foi iniciada depois de os dados terem revelado um número mais elevado de mortes com Oxbryta do que com um placebo (tratamento simulado) num ensaio clínico¹ e um número de mortes superior ao previsto noutro ensaio.²

No primeiro estudo, que avaliou o efeito de Oxbryta em pessoas com doença de células falciformes que apresentavam um risco mais elevado de AVC, 8 crianças tratadas com Oxbryta morreram, em comparação com 2 crianças que receberam um tratamento com placebo. No segundo estudo, que avaliou o efeito do medicamento nas úlceras na perna, uma complicação conhecida da doença de células falciformes, 1 pessoa morreu no grupo de Oxbryta durante as primeiras 12 semanas de tratamento, não tendo ocorrido mortes no grupo do placebo. Na fase seguinte de 12 semanas do estudo, em que todos os doentes receberam Oxbryta, foram notificadas 8 mortes adicionais. Os estudos também demonstraram um número mais elevado de episódios súbitos de dor grave, incluindo crises vaso-oclusivas (CVO), entre os doentes tratados com Oxbryta, em comparação com os doentes que receberam o placebo.

Em 26 de setembro de 2024, o CHMP recomendou a suspensão da Autorização de Introdução no Mercado como medida de precaução quando surgiram dados adicionais de dois estudos baseados em registos, indicando que os doentes sofreram uma maior frequência de episódios súbitos de dor com Oxbryta do que antes de iniciar o tratamento. Nessa altura, a EMA prestou aconselhamento aos

¹ Global Blood Therapeutics. *GBT440-032 Phase 3 Study in Participants with Sickle Cell Disease (HOPE Kids 2)*. IRAS ID: 242661. Número EudraCT: 2017-000903-26. Referência REC: 18/LO/0359. London - City & East Research Ethics Committee. Health Research Authority. Disponível em: <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 A Phase 3, Multicenter, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Trial to Evaluate the Efficacy of Voxelotor for the Treatment of Leg Ulcers in Patients with Sickle Cell Disease (RESOLVE). Número EudraCT: 2025-000161-87. Identificador ClinicalTrials.gov: NCT05561140. Disponível em: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



profissionais de saúde e aos doentes, destacando que Oxbryta deveria deixar de ser prescrito e que os doentes existentes deveriam mudar para um tratamento alternativo.³

Embora a análise final dos estudos de registo não tenha confirmado um aumento dos episódios súbitos de dor com Oxbryta, os ensaios clínicos recentes revelaram mais episódios súbitos de dor e mortes. Estes resultados foram inconsistentes com os do ensaio clínico principal anterior que sustentava a autorização de Oxbryta, que não tinham mostrado uma diferença entre os grupos de tratamento.

Na sua revisão, o CHMP observou que os mecanismos subjacentes ao aumento do número de mortes e de complicações, incluindo episódios súbitos de dor, na sequência do tratamento com Oxbryta nos estudos continuam por esclarecer. O CHMP não encontrou uma explicação clara para o aumento dos riscos e não conseguiu identificar medidas para minimizar eficazmente estes riscos nem nenhum subgrupo de doentes para os quais os benefícios do medicamento seriam superiores aos seus riscos. Consequentemente, o CHMP concluiu que a relação benefício-risco de Oxbryta já não é favorável, pelo que a suspensão da autorização de introdução no mercado do medicamento deve permanecer em vigor. Por conseguinte, Oxbryta manter-se-á indisponível para os profissionais de saúde prescreverem aos doentes na UE.

Para chegar ao seu parecer, o CHMP também teve em consideração a opinião de peritos na área, bem como de representantes dos doentes, e consultou o comité de segurança da EMA (PRAC) sobre potenciais medidas de minimização dos riscos.

Informações adicionais sobre o medicamento

Oxbryta foi autorizado em fevereiro de 2022 para o tratamento da anemia hemolítica (degradação excessiva dos glóbulos vermelhos) em doentes com idade igual ou superior a 12 anos com doença de células falciformes. Era administrado em monoterapia (medicamento único) ou em associação com outro medicamento para a doença de células falciformes denominado hidroxycarbamida. Oxbryta contém a substância ativa voxelotor.

A doença de células falciformes é uma doença genética em que os indivíduos produzem uma forma anormal de hemoglobina (a proteína nos glóbulos vermelhos que transporta oxigénio). Os glóbulos vermelhos tornam-se rígidos e pegajosos, deixando de ser em forma de disco para passarem a ser em forma de crescente (como uma foice).

Informações adicionais sobre o procedimento

A revisão de Oxbryta foi iniciada em 29 de julho de 2024, na sequência de um pedido da Comissão Europeia, nos termos do [artigo 20.º do Regulamento \(CE\) n.º 726/2004](#).

A revisão foi efetuada pelo Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP), responsável pelas questões relativas aos medicamentos para uso humano, o qual adotou o parecer da Agência.

O parecer do CHMP foi transmitido à Comissão Europeia, a qual emitiu uma decisão final juridicamente vinculativa, aplicável em todos os Estados-Membros da UE, em 9 de dezembro de 2025.

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