



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 octombrie 2025
EMA/298985/2025

EMA confirmă suspendarea medicamentului Oxbryta împotriva siclemiei

Rata mai mare a deceselor și a complicațiilor bolii constatată în studiile recente schimbă raportul beneficiu-risc, care nu mai este favorabil

La 16 octombrie 2025, Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al EMA a recomandat ca autorizația de punere pe piață pentru medicamentul Oxbryta împotriva siclemiei să rămână suspendată. Această recomandare a urmat măsurilor provizorii luate de comitet în septembrie 2024, când a suspendat temporar medicamentul pentru a evalua noile date privind siguranța.

În urma evaluării, CHMP a concluzionat că beneficiile medicamentului nu mai sunt mai mari decât riscurile asociate. Reevaluarea a fost inițiată după ce datele au indicat un număr mai mare de decese în asociere cu Oxbryta decât în cazul administrării de placebo (un preparat inactiv) într-un studiu clinic¹ și un număr mai mare de decese decât cel preconizat într-un alt studiu.²

În primul studiu, care a evaluat efectul Oxbryta la persoanele cu siclemie cu risc mai mare de accident vascular cerebral, au decedat 8 copii tratați cu Oxbryta, față de 2 copii care au primit tratament cu placebo. În al doilea studiu, care a evaluat efectul medicamentului asupra ulcerelor la nivelul piciorului, o complicație cunoscută a siclemiei, o persoană a decedat în grupul Oxbryta în primele 12 săptămâni de tratament, în timp ce în grupul placebo nu s-au înregistrat decese. În următoarea fază de 12 săptămâni a studiului, în care toți pacienții au primit Oxbryta, au fost raportate 8 decese suplimentare. De asemenea, studiile au demonstrat un număr mai mare de episoade bruște de durere severă, inclusiv crize veno-ocluzive (VOC), în rândul pacienților tratați cu Oxbryta față de cei cărora li s-a administrat placebo.

La 26 septembrie 2024, CHMP a recomandat suspendarea autorizației de punere pe piață ca măsură de precauție, atunci când au apărut date suplimentare din două studii bazate pe registru, care indicau că pacienții au avut o frecvență mai mare a episoadelor bruște de durere în asociere cu Oxbryta decât înainte de începerea tratamentului. La momentul respectiv, EMA a oferit consiliere profesioniștilor din

¹ Global Blood Therapeutics. GBT440-032 Studiu de fază 3 efectuat la participanți cu siclemie (HOPE Kids 2). ID IRAS: 242661. Număr EudraCT: 2017-000903-26. Referință REC: 18/LO/0359. Londra – Comitetul de etică în cercetare pentru zona centrală și estică (City & East Research Ethics Committee). Autoritatea pentru Cercetare în Domeniul Sănătății. Disponibil la adresa: <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 Studiu de fază 3, multicentric, randomizat, dublu-orb, controlat cu placebo pentru evaluarea eficacității voxelotorului pentru tratamentul ulcerelor la nivelul piciorului la pacienții cu siclemie (RESOLVE). Număr EudraCT: 2025-000161-87. Identificator ClinicalTrials.gov: NCT05561140. Disponibil la adresa: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



domeniul sănătății și pacienților, subliniind că Oxbryta nu mai trebuie prescris și că pacienții existenți trebuie trecuți la un tratament alternativ³.

Deși analiza finală a studiilor bazate pe registre nu a confirmat o creștere a episoadelor bruște de durere în asociere cu Oxbryta, studiile clinice recente au indicat mai multe episoade de durere bruscă și decese. Aceste rezultate nu erau în concordanță cu cele din studiul clinic principal anterior care sprijinea autorizarea Oxbryta, care nu demonstrase o diferență între grupurile de tratament.

În examinarea sa, CHMP a remarcat că mecanismele care stau la baza creșterii numărului de decese și complicații, inclusiv episoade bruște de durere, în urma tratamentului cu Oxbryta în cadrul studiilor rămân neclare. CHMP nu a găsit nicio explicație clară pentru riscurile sporite și nu a putut identifica măsuri de reducere la minimum eficace a acestor riscuri sau vreun subgrup de pacienți la care beneficiile medicamentului ar fi mai mari decât riscurile asociate. Prin urmare, CHMP a concluzionat că raportul beneficiu-risc pentru Oxbryta nu mai este favorabil și că suspendarea autorizației de punere pe piață pentru acest medicament ar trebui menținută. Prin urmare, Oxbryta nu va putea fi prescris de către personalul medical pacienților din UE.

Pentru a emite avizul, CHMP a luat în considerare, de asemenea, recomandările experților din domeniu, precum și ale reprezentanților pacienților și s-a consultat cu comitetul pentru siguranță al EMA (PRAC) cu privire la măsurile potențiale de reducere la minimum a riscurilor.

Informații suplimentare despre medicament

Oxbryta a fost autorizat în februarie 2022 pentru tratarea anemiei hemolitice (descompunerea în exces a globulelor roșii) la pacienți cu siclemie, cu vârsta de cel puțin 12 ani. Medicamentul a fost administrat în monoterapie sau în asociere cu alt medicament pentru tratarea siclemiei, numit hidroxicarbamidă. Oxbryta conține substanța activă voxelotor.

Siclemia este o boală genetică în care se produce o formă anormală a hemoglobinei (proteina din globulele roșii care transportă oxigenul). Globulele roșii devin rigide și lipicioase și își schimbă forma de disc în formă de semilună (ca o seceră).

Informații suplimentare despre procedură

Examinarea Oxbryta a fost inițiată la 29 iulie 2024 la solicitarea Comisiei Europene, în temeiul [articolului 20 din Regulamentul \(CE\) nr. 726/2004](https://eur-lex.europa.eu/legal-content/ro/TXT/?uri=CELEX%3A32004R0726).

Examinarea a fost efectuată de Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP), responsabil cu chestiuni referitoare la medicamentele de uz uman, care a adoptat avizul agenției.

Avizul CHMP a fost înaintat Comisiei Europene, care a emis o decizie definitivă, obligatorie din punct de vedere juridic, aplicabilă în toate statele membre ale UE, la 9 decembrie 2025.

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