



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. októbra 2025  
EMA/298985/2025

## Agentúra EMA potvrdzuje pozastavenie povolenia lieku Oxbryta na liečbu kosáčikovitej anémie

Vyššia miera úmrtí a komplikácií ochorenia v nedávnych skúšaníach znamená, že pomer prínosu a rizika už nie je priaznivý

Dňa 16. októbra 2025 Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry EMA odporučil, aby povolenie na uvedenie lieku Oxbryta na trh na liečbu kosáčikovitej anémie zostalo pozastavené. Toto odporúčanie nasledovalo po dočasných opatreniach, ktoré výbor prijal v septembri 2024, keď dočasne pozastavil povolenie lieku s cieľom preskúmať nové údaje o bezpečnosti.

Výbor CHMP po posúdení dospel k záveru, že prínosy lieku už neprevyšujú jeho riziká. Preskúmanie sa začalo po tom, ako sa v jednom klinickom skúšaní<sup>1</sup> zaznamenal vyšší počet úmrtí pri lieku Oxbryta ako pri placebe (zdanlivom lieku) a v inom skúšaní vyšší počet úmrtí, ako sa očakávalo<sup>2</sup>.

V prvej štúdii, v ktorej sa hodnotil účinok lieku Oxbryta u osôb s kosáčikovitou anémiou s vyšším rizikom mozgovej príhody, zomrelo 8 detí liečených liekom Oxbryta v porovnaní s 2 deťmi, ktoré dostávali placebo. V druhej štúdii, v ktorej sa hodnotil účinok lieku na vrede na nohách, známu komplikáciu kosáčikovitej anémie, zomrela v skupine užívajúcej liek Oxbryta počas prvých 12 týždňov liečby jedna osoba, zatiaľ čo v skupine užívajúcej placebo nedošlo k žiadnemu úmrtiu. V nasledujúcej 12-týždňovej fáze štúdie, v ktorej všetci pacienti dostávali liek Oxbryta, bolo hlásených 8 ďalších úmrtí. V štúdiách sa tiež preukázal vyšší počet náhlych epizód silnej bolesti vrátane vazookluzívnych kríz (VOC) u pacientov liečených liekom Oxbryta v porovnaní s pacientmi, ktorí dostávali placebo.

Dňa 26. septembra 2024 výbor CHMP odporučil pozastavenie povolenia na uvedenie na trh ako preventívne opatrenie, keď sa objavili ďalšie údaje z dvoch registračných štúdií, ktoré naznačujú, že pacienti pri liečbe liekom Oxbryta zaznamenali vyššiu frekvenciu náhlych epizód bolesti ako pred začatím liečby. Agentúra EMA v tom čase poskytla zdravotníckym pracovníkom a pacientom

<sup>1</sup> Global Blood Therapeutics. Štúdia GBT440-032 fázy 3 u účastníkov s kosáčikovitou anémiou (HOPE Kids 2). ID IRAS: 242661. Číslo EudraCT: 2017-000903-26. Referencia REC: 18/LO/0359. London - City & East Research Ethics Committee (Londýn – Etická komisia pre výskum v City & East). Health Research Authority (Orgán pre výskum v oblasti zdravia). K dispozícii na adrese: <https://www.hra.nhs.uk/planning-and-improving-research/application-summaries/research-summaries/gbtt440-032-phase-3-study-in-participants-with-sickle-cell-disease>

<sup>2</sup> Multicentrické, randomizované, dvojito zaslepené, placebom kontrolované skúšanie fázy 3 na vyhodnotenie účinnosti voxelotoru na liečbu vredov na nohách u pacientov s kosáčikovitou anémiou (RESOLVE). Číslo EudraCT: 2025-000161-87. Identifikátor ClinicalTrials.gov: NCT05561140. K dispozícii na adrese: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



odporúčania, v ktorých zdôraznila, že liek Oxbryta sa už nemá predpisovať a že existujúci pacienti majú prejsť na alternatívnu liečbu<sup>3</sup>.

Hoci záverečná analýza registračných štúdií nepotvrdila zvýšenie počtu náhlych epizód bolesti pri lieku Oxbryta, v nedávnych klinických skúšaní sa preukázalo viac náhlych epizód bolesti a úmrtí. Tieto výsledky boli v rozpore s výsledkami predchádzajúceho hlavného klinického skúšania, ktoré podporilo povolenie lieku Oxbryta a v ktorom sa nepreukázal rozdiel medzi liečebnými skupinami.

Výbor CHMP v rámci svojho preskúmania uviedol, že základné mechanizmy zvýšeného počtu úmrtí a komplikácií vrátane epizód náhlej bolesti po liečbe liekom Oxbryta zostávajú v štúdiách nejasné. Výbor CHMP nenašiel jasné vysvetlenie zvýšených rizík a nedokázal identifikovať opatrenia na účinnú minimalizáciu týchto rizík ani žiadnu podskupinu pacientov, u ktorých by prínosy lieku prevážili jeho riziká. Výbor CHMP preto dospel k záveru, že pomer prínosov a rizík lieku Oxbryta už nie je priaznivý a povolenie na uvedenie tohto lieku na trh má zostať pozastavené. Zdravotnícki pracovníci teda naďalej nebudú môcť liek Oxbryta predpisovať pacientom v EÚ.

Výbor CHMP pri vypracúvaní svojho stanoviska zohľadnil aj odporúčania odborníkov v danej oblasti, ako aj zástupcov pacientov a s výborom pre bezpečnosť (PRAC) agentúry EMA konzultoval možné opatrenia na minimalizáciu rizík.

---

## **Ďalšie informácie o lieku**

Liek Oxbryta bol povolený vo februári 2022 na liečbu hemolytickej anémie (nadmerného rozpadu červených krviniek) u pacientov vo veku 12 rokov a starších, ktorí majú kosáčikovitú anémiu. Liek sa podával samostatne alebo spolu s iným liekom na kosáčikovitú anémiu nazývaným hydroxykarbamid. Liek Oxbryta obsahuje liečivo voxelotor.

Kosáčikovitá anémia je genetické ochorenie, pri ktorom sa u jednotlivcov vytvára abnormálna forma hemoglobínu (proteínu v červených krvinkách, ktorý prenáša kyslík). Červené krvinky sa stávajú tuhé a lepkavé a ich tvar sa mení z okrúhleho na mesiačikovitý (ako kosáčik).

## **Ďalšie informácie o postupe**

Preskúmanie lieku Oxbryta sa začalo 29. júla 2024 na žiadosť Európskej komisie podľa [článku 20 nariadenia \(ES\) č. 726/2004](#).

Preskúmanie uskutočnil Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP), ktorý zodpovedá za otázky týkajúce sa liekov na humánne použitie a ktorý prijal stanovisko agentúry.

Stanovisko výboru CHMP bolo postúpené Európskej komisii, ktorá 9. decembra 2025 vydala konečné právne záväzné rozhodnutie platné vo všetkých členských štátoch EÚ.

---

<sup>3</sup> [https://www.ema.europa.eu/en/documents/referral/oxbryta-article-20-procedure-suspension-sickle-cell-disease-medicine-oxbryta\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/referral/oxbryta-article-20-procedure-suspension-sickle-cell-disease-medicine-oxbryta_en.pdf)