



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

4. októbra 2024
EMA/464087/2024

Pozastavenie lieku Oxbryta na liečbu kosáčikovitej anémie

Opatrenie prijaté ako preventívne opatrenie, zatiaľ čo prebieha preskúmanie nových údajov

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry EMA 26. septembra 2024 odporučil pozastaviť povolenie na uvedenie na trh pre liek Oxbryta (voxelotor) na liečbu kosáčikovitej anémie. Toto opatrenie bolo prijaté ako preventívne opatrenie, kým prebieha preskúmanie nových údajov.

Toto odporúčanie vychádza z nových údajov o bezpečnosti z dvoch štúdií založených na registri, z ktorých vyplýva, že výskyt vazookluzívnych kríz (VOC) u pacientov v týchto štúdiách bol počas liečby liekom Oxbryta vyšší ako pred začatím liečby. Vazookluzívne krízy patria medzi najčastejšie komplikácie spojené s kosáčikovitou anémiou. Ich súčasťou sú epizódy akútnej bolesti a môžu viesť k ďalším zdravotným komplikáciám, ako je artritída, zlyhanie obličiek a mŕtvica.

Tieto nové údaje o bezpečnosti sa objavili v čase, keď EMA už skúmala prínosy a riziká lieku Oxbryta v rámci prebiehajúceho [preskúmania](#), ktoré sa začalo v júli 2024. To sa začalo na základe údajov z klinického skúšania, v ktorých sa preukázalo, že pri používaní lieku Oxbryta došlo k vyššiemu počtu úmrtí ako pri používaní placeba (zdanlivého lieku), a v inom skúšaní sa preukázalo, že celkový počet úmrtí bol vyšší, ako sa očakávalo.

Výbor CHMP v tejto súvislosti usúdil, že tieto údaje celkovo vyvolávajú závažné výhrady týkajúce sa bezpečnosti lieku Oxbryta. Vzhľadom na zvýšenú neistotu preto odporučil, aby povolenie na uvedenie na trh, uvedenie na trh a dodávky lieku boli pozastavené až do vyhodnotenia všetkých dostupných údajov v rámci prebiehajúceho preskúmania.

Zároveň sa spoločnosť, ktorá liek Oxbryta uvádza na trh, rozhodla stiahnuť liek zo všetkých krajín, v ktorých je k dispozícii, a ukončiť prebiehajúce klinické skúšania, používanie liekov v naliehavých prípadoch a programy včasného prístupu.

Napriek prebiehajúcemu preskúmaniu EMA odporúča, aby:

- lekári nezačínali liečbu nových pacientov liekom Oxbryta,
- lekári sa obrátili na pacientov, ktorí sú v súčasnosti liečení liekom Oxbryta, s cieľom zastaviť liečbu a prediskutovať alternatívne možnosti liečby,
- lekári naďalej monitorovali pacientov z hľadiska nežiaducich udalostí po zastavení liečby liekom Oxbryta,
- sa pacienti useli pred ukončením liečby obrátiť na svojho lekára,



- pacienti sa s akýmkoľvek otázkami obrátili na svojho lekára.

Podrobnejšie odporúčania budú zaslané zdravotníckym pracovníkom, ktorí liek predpisujú, vydávajú alebo podávajú, v priamom oznámení zdravotníckym pracovníkom (DHPC). Oznámenie DHPC bude uverejnené aj na [webovej stránke EMA](#).

Odporúčanie EMA týkajúce sa pozastavenia bolo zaslané Európskej komisii, ktorá 4. októbra 2024 vydala právne záväzné rozhodnutie platné vo všetkých členských štátoch EÚ.

EMA bude pokračovať v skúmaní lieku Oxbryta a v dohľadnom čase vydá konečné odporúčanie.

Ďalšie informácie o lieku

Oxbryta je liek, ktorý sa používa na liečbu hemolytickej anémie (nadmerného rozpadu červených krviniek) u pacientov vo veku od 12 rokov, ktorí majú kosáčikovitú anémiu. Liek Oxbryta sa môže podávať samostatne alebo spolu s iným liekom na kosáčikovitú anémiu, ktorý sa nazýva hydroxykarbamid. 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).

Lieku Oxbryta bolo 14. februára 2022 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

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 vykonáva Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) zodpovedný za otázky týkajúce sa liekov na humánne použitie, ktorý prijme stanovisko agentúry.

Odporúčanie výboru CHMP pozastaviť liek Oxbryta počas prebiehajúceho preskúmania bolo zaslané Európskej komisii, ktorá 4. októbra 2024 vydala právne záväzné rozhodnutie.