



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. oktober 2025
EMA/298985/2025

Agencija EMA potrdila začasni umik dovoljenja za promet z zdravilom Oxbryta za srpastocelično anemijo

Višja stopnja smrti in zapletov bolezni v nedavnih preskušanjih pomeni, da razmerje med tveganji in koristmi ni več ugodno

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) pri agenciji EMA je 16. oktobra 2025 priporočil, da dovoljenje za promet z zdravilom Oxbryta za zdravljenje srpastocelične anemije še naprej ostane začasno umaknjeno. To priporočilo je bilo oblikovano na podlagi začnih ukrepov, ki jih je odbor sprejel septembra 2024, ko je začasno umaknil zdravilo, da bi pregledal nove podatke o varnosti.

Odbor CHMP je po oceni zaključil, da koristi zdravila ne odtehtajo več z njim povezanih tveganj. Pregled se je začel, ko so podatki enega kliničnega preskušanja¹ pokazali večje število smrti pri uporabi zdravila Oxbryta kot pri uporabi placeba (zdravila brez učinkovine), podatki drugega preskušanja pa večje število smrti od pričakovanega.²

V prvi študiji, v kateri so ocenjevali učinek zdravila Oxbryta pri bolnikih s srpastocelično anemijo, pri katerih je bilo tveganje za možgansko kap večje, je umrlo osem otrok, zdravljenih z zdravilom Oxbryta, v primerjavi z dvema otrokoma, ki sta bila zdravljeni s placebom. V drugi študiji, v kateri so ocenjevali učinek zdravila na razjede na nogah, kar je znan zaplet pri srpastocelični anemiji, je v prvih 12 tednih zdravljenja v skupini, ki je prejela zdravilo Oxbryta, umrla ena oseba, v skupini, ki je prejela placebo, pa ni bilo smrtnih primerov. V naslednji 12-tedenski fazi študije, v kateri so vsi bolniki prejeli zdravilo Oxbryta, so poročali o osmih dodatnih smrtnih primerih. Študiji sta pokazali tudi večje število nenadnih epizod hude bolečine, vključno z vazookluzivnimi krizami, pri bolnikih, ki so bili zdravljeni z zdravilom Oxbryta, v primerjavi s tistimi, ki so prejeli placebo.

Odbor CHMP je 26. septembra 2024 kot previdnostni ukrep priporočil začasni umik dovoljenja za promet, ko so se pojavili dodatni podatki iz dveh študij na podlagi registra, ki so kazali, da so bolniki pogosteje kot pred začetkom zdravljenja z zdravilom Oxbryta doživeli nenadne epizode bolečine.

¹ Global Blood Therapeutics. *GBT440-032 Phase 3 Study in Participants with Sickle Cell Disease (HOPE Kids 2)*. ID IRAS: 242661. Številka EudraCT: 2017-000903-26. Sklic na REC: 18/LO/0359. London - City & East Research Ethical Committee. Organ za zdravstvene raziskave. Na voljo na: <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)*. Številka EudraCT: 2025-000161-87. Identifikator ClinicalTrials.gov: NCT05561140. Na voljo na: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



Takrat je agencija EMA svetovala zdravstvenim delavcem in bolnikom ter poudarila, da se zdravilo Oxbryta ne sme več predpisovati in da morajo obstoječi bolniki preiti na nadomestno zdravljenje.³

Čeprav končna analiza študij podatkov iz registra ni potrdila povečanja števila nenadnih epizod bolečine z zdravilom Oxbryta, so nedavna klinična preskušanja pokazala več nenadnih epizod bolečine in smrtih primerov. Ti rezultati niso bili skladni z rezultati prejšnjega glavnega kliničnega preskušanja, s katerim je bila podprta odobritev zdravila Oxbryta in ki ni pokazalo razlik med zdravljenimi skupinami.

Odbor CHMP je v svojem pregledu ugotovil, da osnovni mehanizmi za povečano število smrtnih primerov in zapletov, vključno z nenadnimi epizodami bolečine, po zdravljenju z zdravilom Oxbryta v študijah ostajajo nejasni. Odbor CHMP ni našel jasne razlage za povečana tveganja in ni mogel opredeliti ukrepov za učinkovito zmanjšanje teh tveganj ali katere koli podskupine bolnikov, pri katerih bi koristila zdravila odtehtale z njim povezana tveganja. Zato je zaključil, da razmerje med tveganji in koristmi zdravila Oxbryta ni več ugodno in da je treba dovoljenje za promet z zdravilom še naprej začasno umakniti. Zdravilo Oxbryta zato zdravstvenim delavcem, ki ga predpisujejo bolnikom v EU, še naprej ne bo na voljo.

Odbor CHMP je pri pripravi mnenja upošteval tudi nasvete strokovnjakov s tega področja in predstavnikov bolnikov ter se posvetoval z Odborom za ocenjevanje tveganja na področju farmakovigilance (PRAC) pri agenciji EMA o morebitnih ukrepih za zmanjšanje tveganja.

Več o zdravilu

Zdravilo Oxbryta je bilo februarja 2022 odobreno za zdravljenje hemolitične anemije (prekomernega razpadanja rdečih krvnih celic) pri bolnikih, starih 12 let in več, ki imajo srpastocelično anemijo. Daje se kot samostojno zdravilo ali v kombinaciji z drugim zdravilom za zdravljenje srpastocelične anemije, imenovanim hidroksikarbamid. Zdravilo Oxbryta vsebuje učinkovino vokselotor.

Srpastocelična anemija je genska bolezen, pri kateri posamezniki tvorijo nenormalno obliko hemoglobina (beljakovine v rdečih krvnih celicah, ki prenaša kisik). Rdeče krvne celice postanejo toge in lepljive ter spremenijo obliko iz okroglo-ploščate v srpasto (podobno srpu).

Več o postopku

Pregled zdravila Oxbryta se je začel 29. julija 2024 na zahtevo Evropske komisije v skladu s [členom 20 Uredbe \(ES\) št. 726/2004](#).

Pregled je opravil Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), odgovoren za vprašanja glede zdravil za uporabo v humani medicini, ki je sprejel mnenje agencije.

Mnenje odbora CHMP je bilo posredovano Evropski komisiji, ki je 9. decembra 2025 izdala končni pravno zavezujoč sklep, ki velja za vse države članice EU.

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