



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 oktober 2025
EMA/298985/2025

EMA bekräftar tillfälligt återkallande av läkemedlet Oxbryta mot sicklecellanemi

En högre förekomst av dödsfall och sjukdomskomplikationer i de senaste prövningarna innebär att nytta-riskförhållandet inte längre är gynnsamt

Den 16 oktober 2025 rekommenderade EMA:s kommitté för humanläkemedel (CHMP) att det tillfälliga återkallandet av godkännandet för försäljning av läkemedlet Oxbryta mot sicklecellanemi ska kvarstå. Denna rekommendation följde på de interimsgåtgärder som vidtogs av kommittén i september 2024, då den tillfälligt återkallade läkemedlet för att granska nya säkerhetsdata.

Efter att ha gjort en bedömning drog CHMP slutsatsen att nyttan med läkemedlet inte längre övervägde riskerna. Granskningen inleddes efter att data visade på ett högre antal dödsfall med Oxbryta än med placebo (överksam behandling) i en klinisk prövning¹ och ett högre antal dödsfall än väntat i en annan prövning.²

I den första studien, där effekten av Oxbryta bedömdes hos personer med sicklecellanemi som löpte högre risk att drabbas av stroke, dog åtta barn som behandlades med Oxbryta, jämfört med två barn som fick placebobehandling. I den andra studien, där läkemedlets effekt på bensår utvärderades (en känd komplikation av sicklecellanemi), avled en person i Oxbryta-gruppen under de första 12 behandlingsveckorna, medan inga dödsfall inträffade i placebogruppen. Under den efterföljande 12-veckorsfasen av studien, där alla patienter fick Oxbryta, rapporterades ytterligare åtta dödsfall. Studierna visade också på ett större antal plötsliga episoder av svår smärta, däribland vaso-okklusiva kriser bland patienter som behandlades med Oxbryta jämfört med dem som fick placebo.

Den 26 september 2024 rekommenderade CHMP tillfälligt återkallande av godkännandet för försäljning som en försiktighetsåtgärd efter framkomsten av ytterligare data från två registerbaserade studier enligt vilka patienterna fick ett högre antal plötsliga smärteepisoder med Oxbryta än innan

¹ Global Blood Therapeutics. *GBT440-032 Phase 3 Study in Participants with Sickle Cell Disease (HOPE Kids 2)*. IRAS-ID: 242661. EudraCT-nummer: 2017-000903-26. REC-referens: 18/LO/0359. London – City & East Research Ethics Committee. Health Research Authority. Finns på <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). EudraCT-nummer: 2025-000161-87. ClinicalTrials.gov Identifier: NCT05561140. Finns på <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2025-000161-87/3rd>



behandlingen inleddes. EMA rådgav då hälso- och sjukvårdspersonal och patienter och betonade att Oxbryta inte längre bör förskrivas och att befintliga patienter bör övergå till en alternativ behandling.³

Även om den slutliga analysen av de registerbaserade studierna inte bekräftade en ökning av plötsliga smärteepisoder med Oxbryta, visade dock de senaste kliniska prövningarna på mer plötsliga smärteepisoder och dödsfall. Dessa resultat överensstämde inte med dem från den tidigare huvudsakliga kliniska prövning som gav stöd åt godkännandet av Oxbryta och som inte hade visat på någon skillnad mellan behandlingsgrupperna.

I sin granskning noterade CHMP att de underliggande mekanismerna för det ökade antalet dödsfall och komplikationer efter behandling med Oxbryta i studierna, däribland plötsliga smärteepisoder, fortfarande är oklara. CHMP fann ingen tydlig förklaring till de ökade riskerna och kunde inte identifiera några åtgärder som effektivt minimerar dessa risker eller någon undergrupp av patienter där nyttan med läkemedlet skulle överväga riskerna. CHMP fann därför att nytta-riskförhållandet för Oxbryta inte längre är gynnsamt och att det tillfälliga återkallandet av läkemedlets godkännande för försäljning bör fortsätta att gälla. Oxbryta kommer därför inte att vara tillgängligt för förskrivning av hälso- och sjukvårdspersonal till patienter i EU.

När CHMP avgav sitt yttrande beaktade den också råd från experter på området liksom från patientföreträdare, samt samrådde med EMA:s säkerhetskommitté (PRAC) om potentiella åtgärder för riskminimering.

Mer information om läkemedlet

Oxbryta godkändes i februari 2022 för behandling av hemolytisk anemi (upptrappad nedbrytning av röda blodkroppar) hos patienter från 12 års ålder som har sicklecellanemi. Det gavs ensamt eller tillsammans med ett annat läkemedel mot sicklecellanemi, hydroxikarbamid. Oxbryta innehåller den aktiva substansen voxelotor.

Sicklecellanemi är en genetisk sjukdom som innebär att patienten producerar en onormal form av hemoglobin (det protein i de röda blodkropparna som transporterar syre). De röda blodkropparna stelnar, blir klibbiga och ändrar form från att vara runda skivor till att se ut som halvcirkelformade skäror.

Mer om förfarandet

Granskningen av Oxbryta inleddes den 29 juli 2024 på begäran av Europeiska kommissionen, i enlighet med [artikel 20 i förordning \(EG\) nr 726/2004](#).

Granskningen genomfördes av kommittén för humanläkemedel (CHMP), som ansvarar för frågor som rör läkemedel avsedda för människor. Kommittén antog EMA:s yttrande.

CHMP:s yttrande översändes till Europeiska kommissionen, som utfärdade ett slutligt rättsligt bindande beslut som gäller i alla EU:s medlemsstater den 9 december 2025.

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