



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

4 oktober 2024
EMA/464087/2024

Tillfälligt återkallande av läkemedlet mot sicklecellsjukdom Oxbryta

Försiktighetsåtgärd som vidtagits medan granskning av nya data pågår

Den 26 september 2024 rekommenderade EMA:s kommitté för humanläkemedel (CHMP) att godkännandet för försäljning av läkemedlet Oxbryta (voxelotor) mot sicklecellsjukdom tillfälligt återkallas. Detta är en försiktighetsåtgärd som vidtagits medan en granskning av nya data pågår.

Rekommendationen utfärdades i enlighet med nya säkerhetsdata från två registerbaserade studier, som visade att patienterna i studierna hade en högre förekomst av vaso-okklusiva kriser under behandling med Oxbryta än innan de började med läkemedlet. Vaso-okklusiva kriser är bland de vanligaste komplikationerna av sicklecellsjukdom. De innefattar episoder av akut smärta och kan leda till ytterligare hälsokomplikationer, såsom artrit, njursvikt och stroke.

Dessa nya säkerhetsdata framkom samtidigt som EMA granskade fördelarna och riskerna med Oxbryta som en del av en pågående [granskning](#) som inleddes i juli 2024. Åtgärden vidtogs eftersom data från en klinisk prövning visade att ett större antal dödsfall inträffade med Oxbryta än med placebo (overksam behandling) och en annan prövning visade att det totala antalet dödsfall var högre än förväntat.

I detta sammanhang fann CHMP att dessa data på det hela taget väcker allvarliga farhågor om Oxbrytas säkerhet. På grund av den ökade osäkerheten rekommenderade kommittén därför att godkännandet för försäljning och tillhandahållandet av läkemedlet tillfälligt upphävs tills alla tillgängliga data har bedömts i den pågående granskningen.

Samtidigt beslutade företaget som marknadsför Oxbryta att dra tillbaka och återkalla läkemedlet från alla länder där det finns tillgängligt och att avbryta pågående kliniska prövningar, s.k. compassionate use-program och program för tidig tillgång.

Medan granskningen pågår rekommenderar EMA följande:

- Läkare ska inte påbörja nya behandlingar av patienter med Oxbryta.
- Läkare ska kontakta patienter som för närvarande behandlas med Oxbryta för att avbryta behandlingen och diskutera alternativa behandlingsalternativ.
- Läkare ska fortsätta att övervaka patienter för biverkningar efter det att behandlingen med Oxbryta har avbrutits.
- Patienter måste tala med sin läkare innan de slutar ta läkemedlet.



- Patienter som har frågor bör tala med sin läkare.

Mer detaljerade rekommendationer kommer att skickas till hälso- och sjukvårdspersonal som förskriver, lämnar ut eller administrerar läkemedlet i en direktadresserat informationsbrev till hälso- och sjukvårdspersonal. Informationsbrevet kommer också att offentliggöras på [EMA:s webbplats](#).

EMA:s rekommendation om tillfälligt upphävande vidarebefordrades till Europeiska kommissionen, som utfärdade ett rättsligt bindande beslut som gäller i alla EU-medlemsstater den 4 oktober 2024.

EMA kommer att fortsätta sin granskning av Oxbryta och utfärda en slutlig rekommendation i vederbörlig ordning.

Mer om läkemedlet

Oxbryta är ett läkemedel som används för att behandla hemolytisk anemi (upptrappad nedbrytning av röda blodkroppar) hos patienter från 12 års ålder som har sicklecellanemi. Oxbryta kan ges ensamt eller tillsammans med hydroxikarbamid, ett annat läkemedel mot sicklecellanemi. Det 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.

Den 14 februari 2022 beviljades Oxbryta ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

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 genomförs av kommittén för humanläkemedel (CHMP), som ansvarar för frågor som rör läkemedel avsedda för människor. Kommittén kommer att anta EMA:s yttrande.

CHMP:s rekommendation att tillfälligt avbryta behandling med Oxbryta under den pågående granskningen överlämnades till Europeiska kommissionen, som utfärdade ett rättsligt bindande beslut den 4 oktober 2024.