



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

29 luglio 2024
EMA/351008/2024

EMA avvia la revisione di Oxbryta, medicinale indicato per l'anemia falciforme

La revisione fa seguito alla segnalazione di casi fatali negli studi clinici

L'EMA ha avviato la revisione di Oxbryta (voxelotor) dopo che i dati di uno studio clinico hanno segnalato un numero maggiore di decessi con Oxbryta rispetto al placebo (trattamento fittizio), e dopo che un altro studio ha rilevato un numero totale di decessi superiore rispetto alle previsioni.

Oxbryta è utilizzato per il trattamento dell'anemia emolitica (un'eccessiva degradazione dei globuli rossi) dovuta ad anemia falciforme in pazienti a partire dai 12 anni di età.

Uno degli studi valutava l'effetto di Oxbryta su persone con anemia falciforme che erano a maggior rischio di ictus, mentre l'altro valutava l'effetto del medicinale sulle ulcere delle gambe, una complicanza nota dell'anemia falciforme.

Il titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio ha pertanto interrotto il trattamento con Oxbryta in entrambi gli studi mentre sono in corso approfondimenti.

Al momento non vi sono prove chiare che Oxbryta abbia causato i decessi summenzionati e si stanno ancora attendendo informazioni su molti dei casi indicati. Alcuni di essi potevano essere collegati a infezioni, compresa la malaria.

L'EMA valuterà i dati emersi dagli studi, tenendo conto di tutte le informazioni disponibili sui benefici e i rischi del medicinale. Successivamente, l'Agenzia formulerà una raccomandazione sull'eventuale modifica, sospensione o revoca dell'autorizzazione all'immissione in commercio nell'UE.

Maggiori informazioni sul medicinale

Oxbryta è utilizzato per il trattamento dell'anemia emolitica (ossia eccessiva degradazione dei globuli rossi) dovuta ad anemia falciforme in pazienti a partire dai 12 anni di età. Oxbryta può essere somministrato da solo o insieme a un altro medicinale per l'anemia falciforme chiamato idrossicarbamide. Contiene il principio attivo voxelotor.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



L'anemia falciforme è una malattia genetica associata alla produzione di una forma anomala di emoglobina (la proteina presente nei globuli rossi che trasporta l'ossigeno). I globuli rossi diventano rigidi e appiccicosi e mutano di forma, che da circolare diventa a mezzaluna (come una falce).

Oxbryta ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 14 febbraio 2022.

Maggiori informazioni sugli studi

Lo studio GBT440-032 valuta gli effetti di voxelotor sulle misurazioni ecografiche al doppler transcranico del flusso sanguigno arterioso cerebrale nei bambini di età compresa tra 2 e 15 anni che sono affetti da anemia falciforme e sono ad alto rischio di ictus. Lo studio ha reclutato 236 pazienti provenienti da Egitto, Ghana, Kenya, Nigeria, Oman, Arabia Saudita, Stati Uniti e Regno Unito. Si sono verificati 8 decessi nelle persone che assumevano voxelotor e 2 decessi nelle persone che assumevano placebo.

Lo studio GBT440-042 valuta gli effetti di voxelotor sulle ulcere delle gambe in 88 pazienti a partire dai 12 anni di età reclutati in Brasile, Kenya e Nigeria. Si sono verificati otto decessi tra i pazienti di questo studio che erano entrati in uno studio di follow-up che ha coinvolto oltre 600 pazienti.

Il trattamento con voxelotor è stato sospeso nei pazienti di entrambi gli studi, nonché in quelli arruolati nello studio di follow-up (GBT440-038).

Al momento non vi sono prove chiare che Oxbryta abbia causato i decessi riferiti negli studi clinici e si stanno ancora attendendo informazioni su molti dei casi indicati.

Maggiori informazioni sulla procedura

La revisione di Oxbryta è stata avviata il 29 luglio 2024 su richiesta della Commissione europea a norma dell'[articolo 20 del regolamento \(CE\) n. 726/2004](#).

La revisione è condotta dal Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP), responsabile delle questioni relative ai medicinali per uso umano, che adotterà il parere dell'EMA. Il parere del CHMP sarà quindi trasmesso alla Commissione europea, la quale rilascerà una decisione finale giuridicamente vincolante e applicabile in tutti gli Stati membri dell'UE.