



7 Oktober 2024

## **Belangrijke risico-informatie: schorsing EU- vergunning van Oxbryta (voxelotor) vanwege veiligheidsoverwegingen**

Geachte heer/mevrouw,

In overleg met het Europees Medicijnagentschap (EMA), het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG) en de Inspectie Gezondheidszorg en Jeugd (IGJ) wil Pfizer u informeren over:

### **Samenvatting**

- **De vergunning voor het in de handel brengen van voxelotor in de Europese Unie wordt uit voorzorg geschorst, terwijl de beoordeling van de balans tussen de voordelen en risico's van voxelotor gaande is.**
- **In de Europese Unie worden alle partijen van voxelotor teruggeroepen.**
- **De registratiehouder stopt ook het gebruik van voxelotor in klinische onderzoeken en early access programma's.**
- **De schorsing volgt op nieuwe klinische gegevens uit twee registeronderzoeken, die wijzen op een disbalans in het aantal vaso-occlusieve crises (VOC) vóór en na de start van de behandeling met voxelotor, en fatale gevallen met voxelotor in klinische onderzoeken.**
- **Er mogen geen nieuwe patiënten starten met een behandeling met voxelotor.**
- **Voorschrijvers moeten patiënten informeren die op dit moment met voxelotor worden behandeld. Staak de behandeling en bespreek alternatieve behandelopties.**
- **Voorschrijvers moeten patiënten, na het staken van de behandeling met voxelotor, goed controleren op het optreden van ziekteverschijnselen van sikkelcelziekte en indien nodig, deze behandelen. Mogelijke complicaties bij abrupte stopzetting van de behandeling kunnen niet worden uitgesloten. De werkzaamheid en een doseringsschema voor een geleidelijke afbouw van de behandeling zijn niet onderzocht.**

### **Aanvullende informatie**

Voxelotor is in de EU goedgekeurd voor de behandeling van hemolytische anemie als gevolg van sikkelcelziekte (*sickle cell disease*, SCD) bij volwassenen en pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder als monotherapie of in combinatie met hydroxycarbamide.

In juli 2024 is het EMA begonnen met een EU-brede evaluatie van voxelotor. Directe aanleiding hiervoor waren gegevens uit lopende klinische onderzoeken. In één onderzoek was het aantal sterfgevallen met voxelotor hoger dan met placebo, terwijl in een ander onderzoek het totale aantal sterfgevallen hoger was dan werd verwacht.

*Belangrijke, niet-commerciële risico-informatie over een farmaceutisch product*

Gegevens uit twee registeronderzoeken in de Verenigde Staten laten een toename zien van vaso-occlusieve crises (VOC) bij patiënten die met de behandeling met het geneesmiddel zijn begonnen. De verzameling en analyse van onderzoeksgegevens worden voortgezet.

Gezien deze nieuwe gegevens wordt de vergunning voor het in de handel brengen van voxelotor in de Europese Unie geschorst totdat deze gegevens in de lopende evaluatie uitvoerig zijn beoordeeld. Het EMA onderzoekt de implicaties van deze bevindingen voor het momenteel goedgekeurde gebruik van voxelotor.

Ondertussen wordt voxelotor uit de handel genomen. Alle lopende klinische onderzoeken en early access programma's worden eveneens stopgezet.

Er mogen geen nieuwe patiënten starten met een behandeling met voxelotor. Voorschrijvers moeten patiënten die momenteel met voxelotor worden behandeld informeren en de behandeling staken. Alternatieve behandelopties moeten worden besproken.

Voorschrijvers moeten patiënten nadat hun behandeling met voxelotor is gestaakt goed controleren op optreden van ziekteverschijnselen van sikkelcelziekte en moeten indien nodig deze behandelen. Bij abrupte stopzetting van de behandeling kunnen mogelijke complicaties niet worden uitgesloten. De werkzaamheid en een doseringsschema voor een geleidelijke afbouw van de behandeling zijn niet onderzocht.

Andere beroepsbeoefenaren in de gezondheidszorg die vragen krijgen van patiënten die momenteel voxelotor voorgeschreven krijgen, moeten deze patiënten doorverwijzen naar hun voorschrijver.

Aan het einde van de evaluatie zal zo nodig verder advies worden verstrekt.

### **Melden van bijwerkingen bij het Nederlands Bijwerkingencentrum Lareb**

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring. Daardoor kan snel nieuwe veiligheidsinformatie worden vastgesteld.

Het is belangrijk om na toelating van het geneesmiddel vermoedelijke bijwerkingen te melden. Op deze wijze kan de verhouding tussen voordelen en risico's van het geneesmiddel voortdurend worden gevolgd. Beroepsbeoefenaren in de gezondheidszorg wordt verzocht alle vermoedelijke bijwerkingen te melden via het Nederlands Bijwerkingen Centrum Lareb; website [www.lareb.nl](http://www.lareb.nl).

### **Contactinformatie**

Indien u vragen heeft of meer informatie wenst met betrekking tot voxelotor, kunt u contact opnemen met de afdeling Medische Informatie van Pfizer bv, te bereiken via telefoonnummer 0800-6334636, of via [medical.information@pfizer.com](mailto:medical.information@pfizer.com).

Met vriendelijke groet,  
Pfizer bv

NB: Deze DHPC is verstuurd aan de volgende zorgverleners in academische centra en erkende sikkelcelbehandelcentra (alle academische centra + het Haga Ziekenhuis): hematologen (niet oncologisch) (+ i.o.), kinderarts-hematologen (niet oncologisch) (+ i.o.), Physician Assistants hematologie en ziekenhuisapothekers

### **Overzicht DHPC's:**

[Nieuws over veiligheid van medicijnen | College ter Beoordeling van Geneesmiddelen \(cbg-meb.nl\)](#)

*Belangrijke, niet-commerciële risico-informatie over een farmaceutisch product*