



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/88452/2024

EMA/H/C/004444

Reblozyl (*luspatercept*)

Přehled pro přípravek Reblozyl a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Reblozyl a k čemu se používá?

Reblozyl je léčivý přípravek, který se používá k léčbě anemie (nizkých hladin červených krvinek) u dospělých s těmito poruchami krve:

- myelodysplastické syndromy, což je skupina onemocnění, při nichž se v kostní dřeni tvoří nedostatečné množství krvinek. Přípravek Reblozyl se používá u pacientů, kteří vyžadují pravidelné krevní transfuze a kteří vykazují velmi nízké až střední riziko vzniku akutní myeloidní leukemie (nádorového onemocnění krve),
- beta-talasemie, což je genetické onemocnění, při kterém pacienti nedokáží vytvářet dostatek beta-globinu, což je složka hemoglobinu (bílkoviny, která se nachází v červených krvinkách a přenáší v těle kyslík).

Tato onemocnění jsou vzácná onemocnění a přípravek Reblozyl byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o těchto vzácných onemocněních naleznete zde: ([myelodysplastické syndromy](#): 22. srpna 2014; [beta-talasemie](#): 29. července 2014).

Tento léčivý přípravek obsahuje léčivou látku luspatercept.

Jak se přípravek Reblozyl používá?

Výdej přípravku Reblozyl je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit lékař, který má zkušenosti s léčbou onemocnění krve.

Přípravek se podává ve formě injekce pod kůži horní části paže, stehna nebo břicha. Doporučená dávka závisí na tělesné hmotnosti pacienta a upravuje se na základě jeho odpovědi na léčbu. Přípravek se podává jednou za 3 týdny. Pokud se u pacienta vyskytnou závažné nežádoucí účinky, léčba by měla být odložena, dokud nedojde k jejich zlepšení.

Více informací o používání přípravku Reblozyl naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Reblozyl působí?

Léčivá látka v přípravku Reblozyl, luspatercept, reguluje tvorbu červených krvinek. Dosahuje toho blokováním signální dráhy zvané Smad2/3, která zpomaluje dozrávání červených krvinek a je

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



nadměrně aktivní u pacientů s beta-talasemií a myelodysplastickými syndromy. Blokováním Smad2/3 se zvyšuje tvorba červených krvinek a je umožňován jejich normální vývoj.

Jaké přínosy přípravku Reblozyl byly prokázány v průběhu studií?

Myelodysplastické syndromy

Do jedné hlavní studie bylo zařazeno 229 dospělých s myelodysplastickými syndromy vyžadujícími pravidelné krevní transfuze. Pacientům byl podáván buď přípravek Reblozyl, nebo placebo (neúčinný přípravek) jako doplněk k běžné standardní léčbě. Krevní transfuzi po dobu nejméně 8 týdnů nepotřebovalo 58 ze 153 (38 %) pacientů léčených přípravkem Reblozyl ve srovnání s 10 ze 76 (13 %) pacientů, kterým bylo podáváno placebo.

V další hlavní studii, do které bylo zařazeno 363 dospělých s myelodysplastickými syndromy vyžadujícími pravidelné krevní transfuze, byl pacientům podáván přípravek Reblozyl, nebo epoetin alfa (jiný léčivý přípravek k léčbě anemie): 110 ze 182 (60 %) pacientů, kterým byl podáván přípravek Reblozyl, nepotřebovalo krevní transfuzi po dobu nejméně 12 týdnů a došlo u nich ke zvýšení hladiny hemoglobinu alespoň o 1,5 g/dl, přičemž tentýž výsledek byl zaznamenán u 63 ze 181 (35 %) pacientů, kterým byl podáván epoetin alfa.

Beta-talasemie

Do jedné hlavní studie bylo zařazeno 336 pacientů s beta-talasemií vyžadující pravidelné krevní transfuze. Pacientům byl jako doplněk ke standardní léčbě podáván buď přípravek Reblozyl, nebo placebo. Počet krevních transfuzí se snížil nejméně o jednu třetinu (o 33 %) u 47 ze 224 (21 %) pacientů léčených přípravkem Reblozyl ve srovnání s 5 ze 112 (4,5 %) pacientů, kterým bylo podáváno placebo.

Do druhé hlavní studie byli zařazeni pacienti s beta-talasemií nevyžadující pravidelné krevní transfuze. Pacientům byl po dobu nejméně 48 týdnů podáván spolu se standardní léčbou buď přípravek Reblozyl, nebo placebo. Po 12 týdnech bylo u 74 z 96 (77 %) pacientů léčených přípravkem Reblozyl zaznamenáno zvýšení hladiny hemoglobinu o nejméně 1 g/dl bez nutnosti transfuze, přičemž tentýž výsledek nebyl zaznamenán u žádného ze 49 pacientů, kterým bylo podáváno placebo.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Reblozyl?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Reblozyl je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Reblozyl u pacientů s myelodysplastickými syndromy (které mohou postihnout více než 15 osob ze 100) jsou únava, průjem, nauzea (pocit na zvracení), slabost, závrať, periferní edém (otok v důsledku zadržování tekutin, zejména kotníků a chodidel) a bolest zad. Nejčastějšími závažnými nežádoucími účinky jsou infekce močových cest, dyspnoe a bolest zad.

U pacientů s beta-talasemií vyžadující transfuzi jsou nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Reblozyl (které mohou postihnout více než 15 osob ze 100) bolest hlavy, bolest kostí a bolest kloubů. Nejčastějšími závažnými nežádoucími účinky jsou účinky způsobené krevními sraženinami v žilách, jako je hluboká žilní trombóza, trombóza portální žíly (krevní sraženiny v žilách zásobujících játra), ischemická cévní mozková příhoda (náhlé přerušení průtoku krve v mozku způsobené zablokováním zásobování krví) a plicní embolie (krevní sraženiny v žilách zásobujících plíce).

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Reblozyl u pacientů s beta-talasemií nevyžadující pravidelné transfuze (které mohou postihnout více než 15 osob ze 100) jsou bolest kostí, zad a kloubů, bolest hlavy a prehypertenze (vysoký normální krevní tlak) a hypertenze (vysoký krevní tlak).

Nejčastějšími závažnými nežádoucími účinky jsou traumatická zlomenina (zlomenina způsobená například pádem nebo úrazem) a komprese míchy v důsledku extramedulární hematopoézy (tvorby krevních buněk mimo kostní dřeň).

Přípravek Reblozyl se nesmí podávat během těhotenství. Ženy, které by mohly otěhotnět, musí během léčby a alespoň 3 měsíce po podání poslední dávky přípravku Reblozyl používat účinnou antikoncepci. Přípravek Reblozyl se nesmí podávat pacientům, u kterých je nutná léčba ke kontrole růstu extramedulární hematopoetické tkáně (tvorby krevních buněk mimo kostní dřeň).

Na základě čeho byl přípravek Reblozyl registrován v EU?

Léčba zahrnující časté krevní transfuze může vést k hromadění železa v těle, což může poškodit orgány. Přípravek Reblozyl může snížit potřebu krevních transfuzí u pacientů s myelodysplastickými syndromy nebo beta-talasemií, přičemž jeho nežádoucí účinky se považují za zvladatelné. U pacientů s beta-talasemií, která nevyžaduje pravidelné transfuze, se předpokládá, že k lepším výsledkům u pacientů přispívá vyšší hladina hemoglobinu. Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Reblozyl převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Reblozyl?

Společnost, která přípravek Reblozyl dodává na trh, poskytne lékařům předepisujícím tento přípravek edukační materiály, ve kterých vysvětlí, že přípravek může být škodlivý pro nenarozené děti, a podrobně popíše opatření, jež musí být přijata k zajištění bezpečného používání tohoto přípravku. Ženám, které by mohly otěhotnět, společnost dále poskytne karty s informacemi o bezpečnostních opatřeních, jež by měly přijmout, aby se zabránilo otěhotnění.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Reblozyl, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Reblozyl průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Reblozyl jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Reblozyl

Přípravku Reblozyl bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 25. června 2020.

Další informace o přípravku Reblozyl jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 03-2024.