



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/247527/2020  
EMA/H/C/004444

## Reblozyl (*Luspatercept*)

Übersicht über Reblozyl und warum es in der EU zugelassen ist

### Was ist Reblozyl und wofür wird es angewendet?

Reblozyl ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Anämie (verminderte Zahl roter Blutkörperchen), die bei Erwachsenen mit den folgenden Blutkrankheiten regelmäßige Bluttransfusionen erfordert:

- myelodysplastische Syndrome, eine Gruppe von Erkrankungen, bei denen vom Knochenmark nicht genügend Blutzellen gebildet werden. Reblozyl wird bei Patienten mit einem sehr geringen bis mäßigen Risiko für die Entwicklung einer akuten myeloischen Leukämie (einer Art von Blutkrebs) oder Sterberisiko bei Patienten angewendet, die auf ein anderes Arzneimittel, Erythropoetin, nicht ansprechen oder dafür nicht geeignet sind.
- Beta-Thalassämie, eine genetische Erkrankung, bei der die Patienten nicht genügend beta-Globin – ein Bestandteil von Hämoglobin, dem Protein in roten Blutkörperchen, das den Sauerstoff durch den Körper transportiert – produzieren können.

Diese Krankheiten sind selten, und Reblozyl wurde als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zu den Ausweisungen als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den Internetseiten der Europäischen Arzneimittel-Agentur ([myelodysplastische Syndrome](#): 22. August 2014; [Beta-Thalassämie](#): 29. Juli 2014).

Das Arzneimittel enthält den Wirkstoff Luspatercept.

### Wie wird Reblozyl angewendet?

Das Arzneimittel ist zur Injektion unter die Haut und nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung sollte durch einen Arzt mit Erfahrung in der Behandlung von Bluterkrankungen eingeleitet werden.

Das Arzneimittel wird unter die Haut des Oberarms, Oberschenkels oder Bauchs injiziert. Die empfohlene Dosis ist vom Körpergewicht des Patienten abhängig und wird je nach Ansprechen des Patienten angepasst. Das Arzneimittel wird einmal alle 3 Wochen angewendet. Treten beim Patienten schwere Nebenwirkungen auf, sollte die Behandlung aufgeschoben werden, bis sich die Nebenwirkungen bessern.

Weitere Informationen zur Anwendung von Reblozyl entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



## Wie wirkt Reblozyl?

Der Wirkstoff in Reblozyl, Luspatercept, reguliert die Reifung von roten Blutzellen. Hierzu hemmt er einen Signalweg mit der Bezeichnung Smad2/3, der die Reifung von roten Blutzellen verzögert und bei Patienten mit Beta-Thalassämie und myelodysplastischen Syndromen überaktiv ist. Die Hemmung des Smad2/3-Signalwegs verstärkt die Bildung und ermöglicht die normale Entwicklung roter Blutzellen.

## Welchen Nutzen hat Reblozyl in den Studien gezeigt?

### Myelodysplastische Syndrome

Die Hauptstudie wurde bei 229 Erwachsenen mit myelodysplastischen Syndromen durchgeführt, die regelmäßige Bluttransfusionen erforderten. Die Patienten erhielten entweder Reblozyl oder ein Placebo (eine Scheinbehandlung) zusätzlich zur normalen Standardbehandlung. 58 von 153 Patienten (38 %), die Reblozyl einnahmen, benötigten mindestens 8 Wochen lang keine Bluttransfusion, verglichen mit 10 von 76 (13 %) der mit Placebo behandelten Patienten.

### Beta-Thalassämie

Die Hauptstudie umfasste 336 Patienten mit Beta-Thalassämie, die regelmäßige Bluttransfusionen benötigten. Die Patienten erhielten entweder Reblozyl oder ein Placebo (eine Scheinbehandlung) zusätzlich zur normalen Standardbehandlung. Bei 48 von 224 Patienten (21 %), die mit Reblozyl behandelt wurden, wurde der Bedarf an Bluttransfusionen um mindestens 33 % reduziert, verglichen mit 5 von 112 (4,5 %) der mit Placebo behandelten Patienten.

## Welche Risiken sind mit Reblozyl verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Reblozyl bei Patienten mit myelodysplastischen Syndromen (die mehr als 15 von 100 Behandelten betreffen können) sind Müdigkeit, Durchfall, Schwächegefühl, Schwindelgefühl, Rückenschmerzen und Kopfschmerzen. Sehr häufige schwerwiegende Nebenwirkungen (die mehr als 2 von 100 Behandelten betreffen können) sind Ohnmacht, Müdigkeit, hoher Blutdruck, Schwächegefühl, Harnwegsinfektionen und Rückenschmerzen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Reblozyl bei Patienten mit Beta-Thalassämie (die mehr als 15 von 100 Behandelten betreffen können) sind Kopf-, Knochen- und Gelenkschmerzen. Sehr häufige schwerwiegende Nebenwirkungen sind Hyperurikämie (hohe Harnsäurespiegel im Blut), Schlaganfälle, Auswirkungen von Blutgerinnseln in den Venen wie z. B. tiefe Venenthrombosen, Portalvenenthrombosen (Gerinnsel in den Venen, die die Leber mit Blut versorgen) und Lungenembolien (Gerinnsel in den Venen, die die Lunge mit Blut versorgen).

Reblozyl darf nicht während der Schwangerschaft angewendet werden. Frauen, die schwanger werden können, müssen während der Behandlung und mindestens während 3 Monaten nach der letzten Dosis eine zuverlässige Verhütungsmethode anwenden. Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Reblozyl berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

## Warum wurde Reblozyl in der EU zugelassen?

Die Behandlung mit häufigen Bluttransfusionen kann zu einer Eisenanreicherung im Körper führen, die Organe schädigen kann. Reblozyl verringert den Bedarf an Bluttransfusionen bei myelodysplastischen Syndromen und Beta-Thalassämie, während seine Nebenwirkungen als beherrschbar angesehen werden. Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Reblozyl gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

## **Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Reblozyl ergriffen?**

Das Unternehmen, das Reblozyl in Verkehr bringt, wird Schulungsmaterialien für Ärzte, die Reblozyl verschreiben, herausgeben, in denen darauf hingewiesen wird, dass das Arzneimittel das ungeborene Kind schädigen kann, und genau beschrieben wird, wie das Arzneimittel sicher anzuwenden ist. Darüber hinaus erhalten Frauen, die schwanger werden können, Informationskarten zu den Maßnahmen, die sie ergreifen sollten, um eine Schwangerschaft zu vermeiden.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Reblozyl, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Reblozyl kontinuierlich überwacht. Gemeldete Nebenwirkungen von Reblozyl werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

## **Weitere Informationen über Reblozyl**

Weitere Informationen zu Reblozyl finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl)