



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Reblozyl (*luspatercept*)

Aperçu de Reblozyl et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

### Qu'est-ce que Reblozyl et dans quel cas est-il utilisé?

Reblozyl est un médicament utilisé pour le traitement de l'anémie (faible nombre de globules rouges dans le sang), maladie qui nécessite de nombreuses transfusions sanguines chez les adultes présentant les troubles sanguins suivants:

- Les syndromes myélodysplasiques, un groupe d'affections dans lesquelles le nombre de cellules sanguines produites par la moelle osseuse est trop faible. Reblozyl est utilisé chez les patients présentant un risque très faible à modéré de développer une leucémie myéloïde aiguë (un cancer du sang) ou de mourir, et pour lesquels un autre médicament, l'érythropoïétine, n'est pas adapté ou n'agit pas.
- La bêta-thalassémie, une maladie génétique dans laquelle les patients ne parviennent pas à produire suffisamment de bêta-globine, une composante de l'hémoglobine, la protéine dans les globules rouges qui transporte l'oxygène dans l'organisme.

Ces maladies sont rares et Reblozyl a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares). De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées sur le site web de l'Agence européenne des médicaments: ([syndromes myélodysplasiques](#): 22 août 2014; [bêta-thalassémie](#): 29 juillet 2014).

Le médicament contient la substance active luspatercept.

### Comment Reblozyl est-il utilisé?

Le médicament est disponible pour être injecté sous la peau et n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement doit être instauré par un médecin expérimenté dans le traitement des maladies sanguines.

L'injection est réalisée sous la peau de la partie supérieure du bras, de la cuisse ou du ventre. La dose recommandée dépend du poids corporel du patient et est ajustée en fonction de la réponse du patient au traitement. Le traitement est administré une fois toutes les trois semaines. Si le patient présente des effets indésirables graves, le traitement doit être retardé jusqu'à leur amélioration.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Reblozyl, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

---

**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



## Comment Reblozyl agit-il?

La substance active contenue dans Reblozyl, le luspatercept, régule la maturation des globules rouges. Elle y parvient en bloquant une voie de signalisation appelée Smad2/3, qui ralentit la maturation des globules rouges et est hyperactive chez les patients atteints de bêta-thalassémie et de syndromes myélodysplasiques. Le blocage de Smad2/3 augmente la production de globules rouges et leur permet de se développer normalement.

## Quels sont les bénéfices de Reblozyl démontrés au cours des études?

### Syndromes myélodysplasiques

L'étude principale a été menée chez 229 adultes atteints de syndromes myélodysplasiques nécessitant des transfusions sanguines régulières. Les patients ont reçu soit Reblozyl, soit un placebo (traitement fictif), en complément des soins standard normaux. Dans la seconde étude, 58 patients sur 153 (38%) sous Reblozyl n'ont pas eu besoin de transfusion sanguine pendant au moins 8 semaines, contre 10 patients sur 76 (13%) sous placebo.

### Bêta-thalassémie

La principale étude portait sur 336 patients atteints de bêta-thalassémie nécessitant des transfusions sanguines régulières. Les patients ont reçu soit Reblozyl, soit un placebo (traitement fictif), en complément des soins standard normaux. 48 patients sur 224 (21%) sous Reblozyl ont présenté une réduction d'au moins 33% de leur besoins en transfusions sanguines, comparé avec 5 patients sur 112 (4,5%) sous placebo.

## Quels sont les risques associés à l'utilisation de Reblozyl?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Reblozyl chez les patients présentant des syndromes myélodysplasiques (qui peuvent toucher plus de 15 personnes sur 100) sont les suivants: fatigue, diarrhée, faiblesse, nausées, vertiges, douleurs dans le dos et maux de tête. Les effets indésirables graves ou sévères les plus courants (touchant plus de deux personnes sur 100) étaient: syncope (évanouissement), fatigue, hypertension (pression artérielle élevée), faiblesse, infection des voies urinaires (infection des structures qui transportent l'urine) et douleurs dans le dos.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Reblozyl chez les patients souffrant de bêta-thalassémie (qui peuvent toucher plus de 15 personnes sur 100) étaient les maux de tête, les douleurs osseuses et articulaires. Les effets indésirables graves ou sévères les plus courants étaient: hyperuricémie (taux élevés d'acide urique dans le sang), AVC, effets dus à des caillots de sang dans les veines tels qu'une thrombose veineuse profonde, une thrombose de la veine porte (caillots dans les veines alimentant le foie) et une embolie pulmonaire (caillots dans les veines alimentant les poumons).

Reblozyl ne doit pas être administré pendant la grossesse. Les femmes en âge de procréer doivent utiliser une contraception efficace pendant le traitement et au moins trois mois après la prise de la dernière dose. Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Reblozyl, voir la notice.

## Pourquoi Reblozyl est-il autorisé dans l'UE?

Le traitement qui consiste à recourir fréquemment à des transfusions sanguines peut entraîner une accumulation de fer dans le corps, ce qui peut endommager les organes. Reblozyl réduit la nécessité de recourir à des transfusions sanguines en cas de syndromes myélodysplasiques et de bêta-thalassémie, tandis que ses effets indésirables sont considérés comme gérables. L'Agence européenne

des médicaments a donc estimé que les bénéfices de Reblozyl sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

## **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Reblozyl?**

La société qui commercialise Reblozyl mettra à disposition des kits éducatifs à l'intention des médecins qui prescriront Reblozyl, expliquant que le médicament peut être dangereux pour l'enfant à naître et décrivant en détail les mesures qu'il est nécessaire de prendre pour assurer la sécurité d'emploi du médicament. Elle fournira également des cartes aux femmes susceptibles de tomber enceintes concernant les mesures de sécurité qu'elles devraient prendre pour éviter une grossesse.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Reblozyl ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Reblozyl sont surveillées en permanence. Les effets indésirables rapportés avec Reblozyl sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

## **Autres informations relatives à Reblozyl:**

Des informations sur Reblozyl sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl)