



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Reblozyl (*luspatercept*)

Sintesi di Reblozyl e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Reblozyl e per cosa si usa?

Reblozyl è un medicinale usato per il trattamento dell'anemia (conta dei globuli rossi bassa) che rende necessarie trasfusioni di sangue regolari in adulti affetti dalle seguenti malattie del sangue:

- sindromi mielodisplastiche, ossia un gruppo di affezioni nelle quali il midollo osseo produce un numero insufficiente di cellule del sangue. Reblozyl è usato in pazienti che presentano un rischio da molto basso a moderato di sviluppare leucemia mieloide acuta (un cancro del sangue) o di morire e per i quali un altro medicinale, eritropoietina, non è adatto o non è efficace;
- beta-talassemia, una malattia genetica che comporta una produzione insufficiente di beta-globina, una componente dell'emoglobina, la proteina dei globuli rossi che trasporta l'ossigeno in tutto l'organismo.

Queste malattie sono rare e Reblozyl è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare). Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia europea per i medicinali ([sindromi mielodisplastiche](#): 22 agosto 2014; [beta-talassemia](#): 29 luglio 2014).

Il medicinale contiene il principio attivo luspatercept.

Come si usa Reblozyl?

Il medicinale è disponibile sotto forma di soluzione per iniezione sottocutanea e può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere iniziato da un medico esperto nel trattamento delle malattie del sangue.

L'iniezione viene effettuata sotto la pelle nella parte superiore del braccio, nella coscia o nella pancia. La dose raccomandata dipende dal peso corporeo del paziente e viene aggiustata in base alla sua risposta. Il trattamento viene somministrato una volta ogni 3 settimane. Se il paziente manifesta effetti indesiderati gravi, il trattamento deve essere posticipato fino alla loro attenuazione.

Per maggiori informazioni sull'uso di Reblozyl, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

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



Come agisce Reblozyl?

Il principio attivo contenuto in Reblozyl, luspatercept, regola la maturazione dei globuli rossi, bloccando una via di segnalazione denominata Smad2/3 che rallenta la maturazione dei globuli rossi ed è iperattiva nei pazienti affetti da beta-talassemia e sindromi mielodisplastiche. Il blocco della Smad2/3 aumenta la produzione di globuli rossi consentendone il normale sviluppo.

Quali benefici di Reblozyl sono stati evidenziati negli studi?

Sindromi mielodisplastiche

Lo studio principale è stato condotto su 229 adulti con sindromi mielodisplastiche che necessitavano di trasfusioni di sangue regolari. I pazienti hanno ricevuto Reblozyl o placebo (un trattamento fittizio) in aggiunta al trattamento standard.- 58 pazienti sui 153 (38 %) che avevano assunto Reblozyl non hanno avuto bisogno di una trasfusione di sangue per almeno 8 settimane, rispetto a 10 pazienti sui 76 (13 %) che avevano ricevuto placebo.

Beta-talassemia

Lo studio principale è stato condotto su 336 pazienti con beta-talassemia che necessitavano di trasfusioni di sangue regolari. I pazienti hanno ricevuto Reblozyl o placebo (un trattamento fittizio) in aggiunta al trattamento standard. È stata registrata una diminuzione del 33 % della necessità di trasfusioni di sangue in 48 sui 224 pazienti (21 %) che hanno assunto Reblozyl rispetto a 5 sui 112 (4,5 %) che hanno ricevuto placebo.

Quali sono i rischi associati a Reblozyl?

Gli effetti indesiderati più comuni di Reblozyl nei pazienti affetti da sindromi mielodisplastiche (che possono riguardare più di 15 persone su 100) sono stanchezza, diarrea, debolezza, nausea, capogiro, dolore dorsale e cefalea. Gli effetti indesiderati gravi o severi più comuni (che possono riguardare più di 2 persone su 100) sono sincope (mancamento), stanchezza, ipertensione (pressione del sangue elevata), debolezza, infezione del tratto urinario (infezione delle strutture che trasportano l'urina) e dolore dorsale.

Gli effetti indesiderati più comuni di Reblozyl nei pazienti affetti da beta-talassemia (che possono riguardare fino a 15 persone su 100) sono cefalea, dolore osseo e articolare. Gli effetti indesiderati gravi o severi più comuni sono iperuricemia (livelli elevati di acido urico nel sangue), ictus, effetti dovuti a coaguli di sangue nelle vene quali trombosi venosa profonda, trombosi della vena porta (coaguli nelle vene che irrorano il fegato) ed embolia polmonare (coaguli nelle vene che irrorano i polmoni).

Reblozyl non deve essere somministrato durante la gravidanza. Le donne in età fertile devono usare misure contraccettive efficaci durante il trattamento e per almeno tre mesi dall'ultima dose. Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Reblozyl, vedere il foglio illustrativo.

Perché Reblozyl è autorizzato nell'UE?

Il trattamento con trasfusioni di sangue frequenti può comportare un accumulo di ferro nell'organismo, che può danneggiare gli organi. Reblozyl riduce la necessità di trasfusioni di sangue in caso di sindromi mielodisplastiche e beta-talassemia e i suoi effetti indesiderati sono considerati gestibili. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Reblozyl sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Reblozyl?

La ditta che commercializza Reblozyl fornirà materiale informativo per i medici che prescrivono Reblozyl che spieghi la pericolosità del medicinale per il feto e specifichi le misure da adottare per un suo utilizzo sicuro. Fornirà altresì schede informative alle donne in età fertile in merito alle misure di sicurezza da adottare per evitare una gravidanza.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Reblozyl sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Reblozyl sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Reblozyl sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Reblozyl

Ulteriori informazioni su Reblozyl sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl.