



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/88452/2024

EMA/H/C/004444

Reblozyl (*luspatersepti*)

Yleistiedot Reblozyl-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Reblozyl on ja mihin sitä käytetään?

Reblozyl on lääke, jota käytetään anemian (veren punasolujen vähyyden) hoitoon aikuisilla, joilla on jokin seuraavista verisairauksista:

- myelodysplastiset oireyhtymät, jotka ovat ryhmä sairauksia, joissa luuydin tuottaa liian vähän verisoluja. Reblozyl-valmistetta annetaan potilaille, jotka tarvitsevat säännöllisiä verensiirtoja ja joilla on hyvin pieni tai kohtalainen riski sairauden kehittymisestä akuutiksi myelooiseksi leukemiaksi (verisyöpä).
- beetatalassemia, joka on geneettinen sairaus ja jossa potilaan elimistö ei pysty tuottamaan tarpeeksi beetaglobiinia. Se on hemoglobiinin (happea veren punasoluissa elimistössä kuljettavan proteiinin) osa.

Nämä sairaudet ovat harvinaisia, ja Reblozyl nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke). Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on Euroopan lääkeviraston verkkosivustolla ([myelodysplastiset oireyhtymät](#) 22. elokuuta 2014; [beetatalassemia](#) 29. heinäkuuta 2014).

Lääkkeen vaikuttava aine on luspatersepti.

Miten Reblozyl-valmistetta käytetään?

Reblozyl-valmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon voi aloittaa vain lääkäri, jolla on kokemusta verisairauksien hoidosta.

Lääke annetaan injektiona ihon alle olkavarteen, reiteen tai vatsaan. Suositusannos perustuu potilaan painoon, ja sitä voidaan muuttaa potilaan hoitovasteen mukaan. Lääkettä annetaan joka kolmas viikko. Jos potilaalle ilmaantuu vakavia haittavaikutuksia, hoitoa voidaan lykätä, kunnes haittavaikutukset ovat parantuneet.

Lisätietoa Reblozylin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Reblozyl vaikuttaa?

Reblozylin vaikuttava aine luspatersepti säätelee punasolujen kehitystä. Se estää punasolujen kypsymistä hidastavien Smad2- ja Smad3-proteiinien signaalinvälitysreittien toimintaa.

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



Signaalinvälitysreitit ovat yliaktiivisia beetatalassemiaa ja myelodysplastisia oireyhtymiä sairastavilla potilailla. Smad2- ja Smad3-signaalinvälitysreittien katkaiseminen lisää punasolujen tuotantoa ja mahdollistaa niiden normaalin kehityksen.

Mitä hyötyä Reblozyl-valmisteesta on havaittu tutkimuksissa?

Myelodysplastiset oireyhtymät

Päätutkimukseen osallistui 229 aikuista, joilla oli säännöllisiä verensiirtoja edellyttäviä myelodysplastisia oireyhtymiä. Potilaat saivat tavanomaisen hoidon kanssa joko Reblozyl-valmistetta tai lumelääkettä. Reblozyl-valmistetta saaneista 153 potilaasta 58 (38 %) ei tarvinnut verensiirtoa vähintään kahdeksaan viikkoon. Lumelääkettä saaneista 76 potilaasta vastaava määrä oli kymmenen potilasta (13 %).

Toisessa päätutkimuksessa, johon osallistui 363 aikuista, joilla oli säännöllisiä verensiirtoja vaativia myelodysplastisia oireyhtymiä, potilaille annettiin Reblozyl-valmistetta tai epoetiini alfaa (toinen anemiaan käytettävä lääke): Reblozyl-valmistetta saaneista potilaista 60 prosenttia (110 potilasta 182 potilaasta) ei tarvinnut verensiirtoja vähintään 12 viikkoon, ja heidän hemoglobiinipitoisuutensa nousi vähintään 1,5 g/dl. Epoetiini alfaa saaneiden potilaiden vastaava osuus oli 35 prosenttia (63 potilasta 181:stä).

Beetatalassemia

Yhteen päätutkimukseen osallistui 336 potilasta, jotka sairastivat säännöllisiä verensiirtoja edellyttävää beetatalassemiaa. Potilaat saivat joko Reblozyl-valmistetta tai lumelääkettä tavanomaisen hoidon lisänä. Reblozyl-valmistetta saaneista 224 potilaasta 47 potilaan (21 %) verensiirtojen määrä väheni vähintään kolmanneksen (33 %). Lumelääkettä saaneista 112 potilaasta vastaavan vähenemä havaittiin viidellä potilaalla (4,5 %).

Toiseen päätutkimukseen osallistui beetatalassemiaa sairastavia potilaita, jotka eivät tarvinneet säännöllisiä verensiirtoja. Potilaat saivat joko Reblozyl-valmistetta tai lumelääkettä tavanomaisen hoidon lisänä vähintään 48 viikon ajan. Reblozyl-hoitoa saaneista 96 potilaasta 74 potilaan (77 %) hemoglobiinipitoisuus oli noussut 12 viikon jälkeen vähintään 1 g/dl, eikä verensiirroille ollut tarvetta. Yhdenkään lumelääkettä saaneen 49 potilaan tila ei kohentunut vastaavasti.

Mitä riskejä Reblozyliin liittyy?

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Reblozylin ilmoitetuista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Myelodysplastisia oireyhtymiä sairastavilla potilailla Reblozylin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin 15 potilaalle sadasta) ovat väsymys, ripuli, pahoinvointi, heikotus, huimaus, perifeerinen ödeema (erityisesti nesteen kertymisestä johtuva nilkkojen ja jalkojen turvotus) sekä selkäkipu. Yleisimmät vakavat haittavaikutukset ovat virtsatieinfektio, hengenahdistus (dyspnea) ja selkäkipu.

Reblozylin yleisimmät haittavaikutukset potilailla, joiden sairastama beetatalassemia edellyttää verensiirtoja, ovat päänsärky sekä luu- ja nivelkipu (voi esiintyä useammalla kuin 15 potilaalla sadasta). Yleisimmät vakavat haittavaikutukset liittyvät verisuonitukoksiin. Niitä ovat esimerkiksi syvän laskimon tukos, porttilaskimotukos (verihyytymät maksaan verta kuljettavissa laskimoissa), iskeeminen aivohalvaus (verenvirtauksen äkillinen keskeytyminen aivoissa verenvirtauksen estävän tukoksen takia) ja keuhkoembolia (verihyytymät keuhkoihin verta kuljettavissa laskimoissa).

Beetatalassemia sairastavilla potilailla Reblozylin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin 15 potilaalle sadasta) ovat luu-, selkä- ja nivelkipu, päänsärky, prehypertensio

(korkea normaali verenpaine) ja korkea verenpaine (hypertensio). Yleisimmät vakavat haittavaikutukset ovat traumaattinen murtuma (joka on aiheutunut esimerkiksi kaatumisen tai tapaturman yhteydessä) ja selkäytimen puristustila ekstramedullaarisen hemopoieesiin vuoksi (kun verisoluja muodostuu luuytimen ulkopuolella).

Reblozyl-valmistetta ei saa antaa raskauden aikana. Naisten, jotka voivat tulla raskaaksi, on käytettävä tehokasta ehkäisyä hoidon aikana ja vähintään kolmen kuukauden ajan viimeisen Reblozyl-annoksen jälkeen. Reblozyl-valmistetta ei saa antaa potilaille, jotka tarvitsevat hoitoa ekstramedullaariseen hemopoieesiin liittyvien kasvaintyyppisten massojen kasvun hillitsemiseksi (verisolujen muodostuminen luuytimen ulkopuolella).

Miksi Reblozyl on hyväksytty EU:ssa?

Toistuvat verensiirrot saattavat johtaa raudan kerääntymiseen kehossa, mikä voi vahingoittaa elimiä. Reblozyl voi vähentää verensiirtojen tarvetta potilailla, joilla on myelodysplastisia oireyhtymiä tai beetatalassemia. Sen haittavaikutusten katsotaan olevan hallittavissa. Beetatalassemiaa sairastavilla potilailla, jotka eivät tarvitse säännöllisiä verensiirtoja, korkeamman hemoglobiinipitoisuuden odotetaan parantavan potilaiden hoitotuloksia. Näin ollen Euroopan lääkevirasto katsoi, että Reblozyl-valmisteesta saatava hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Reblozylin turvallinen ja tehokas käyttö?

Reblozyl-valmistetta valmistava yhtiö toimittaa valmistetta määrääville lääkäreille perehdytysaineiston. Siinä kerrotaan, että käytöstä raskauden aikana voi olla haittaa sikiölle, ja esitetään toimenpiteet, joita on noudatettava lääkkeen turvallisen käytön varmistamiseksi. Se toimittaa myös naisille, jotka voivat tulla raskaaksi, tietokortit, joissa kerrotaan toimenpiteistä, joihin heidän on ryhdyttävä raskauden estämiseksi.

Suosikset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Reblozylin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Reblozylin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Reblozyl-valmisteesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Reblozyl-valmisteesta

Reblozyl sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 25. kesäkuuta 2020.

Lisätietoja Reblozyl-valmisteesta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 03-2024.