



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/88452/2024

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 taux de globules rouges) chez les adultes présentant les troubles sanguins suivants:

- 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 qui ont besoin de transfusions sanguines régulières et qui présentent un risque très faible à modéré de développer une leucémie myéloïde aiguë (un cancer du sang);
- 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). Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles 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?

Reblozyl n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement doit être instauré par un médecin expérimenté dans le traitement des maladies sanguines.

Le médicament est administré par injection sous la peau dans la partie supérieure du bras, la cuisse ou le 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 votre 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

Send us a question Go to 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 formation 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

Une étude principale portait sur 229 adultes atteints de syndromes myélodysplasiques nécessitant des transfusions sanguines régulières. Les patients recevaient soit Reblozyl, soit un placebo (un traitement fictif) en plus des soins normaux; 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.

Dans une autre étude principale portant sur 363 adultes atteints de syndromes myélodysplasiques nécessitant des transfusions sanguines régulières, les patients recevaient Reblozyl ou de l'époétine alfa (un autre médicament pour le traitement de l'anémie): 60 % (110 sur 182) des patients ayant reçu Reblozyl n'ont pas eu besoin de transfusion sanguine pendant au moins 12 semaines et ont vu leur taux d'hémoglobine augmenter d'au moins 1,5 g/dL, contre 35 % (63 sur 181) des patients ayant reçu de l'époétine alfa.

Bêta-thalassémie

Une étude principale portait sur 336 patients atteints de bêta-thalassémie nécessitant des transfusions sanguines régulières. Les patients ont reçu soit Reblozyl, soit un placebo, en plus du traitement standard. Les transfusions sanguines ont été réduites d'au moins un tiers (33 %) chez 47 patients sur 224 (21 %) sous Reblozyl, contre 5 patients sur 112 (4,5 %) sous placebo.

Une deuxième étude principale portait sur des patients atteints de bêta-thalassémie ne nécessitant pas de transfusions sanguines régulières. Les patients ont reçu soit Reblozyl, soit un placebo, en association avec un traitement standard pendant au moins 48 semaines. Après 12 semaines, 74 patients sur 96 (77 %) sous Reblozyl ont vu leur taux d'hémoglobine augmenter d'au moins 1 g/dL sans avoir besoin de transfusions, contre aucun des 49 patients ayant reçu un placebo.

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

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Reblozyl, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Reblozyl chez les patients atteints de syndromes myélodysplasiques (qui peuvent toucher plus de 15 personnes sur 100) sont notamment les suivants: fatigue, diarrhée, nausées (envie de vomir), faiblesse, vertiges, œdème périphérique (gonflement dû à une rétention d'eau, en particulier des chevilles et des pieds) et mal de dos. Les effets indésirables graves les plus couramment observés sont notamment les suivants: infection des voies urinaires (infection des structures qui transportent l'urine), dyspnée et mal de dos.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Reblozyl chez les patients atteints d'une bêta-thalassémie nécessitant des transfusions (qui peuvent toucher plus de 15 personnes sur 100) sont notamment les maux de tête ainsi que les douleurs osseuses et articulaires. Les effets indésirables graves les plus couramment observés sont notamment les suivants: 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), un accident vasculaire cérébral ischémique (interruption soudaine du flux sanguin dans le cerveau due à un blocage de l'alimentation en sang) et une embolie pulmonaire (caillots dans les veines alimentant les poumons).

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Reblozyl chez les patients atteints d'une bêta-thalassémie ne nécessitant pas de transfusions régulières (qui peuvent toucher plus de 15 personnes sur 100) sont notamment les suivants: douleurs osseuses, dorsales et articulaires, maux de tête, préhypertension (pression artérielle normale élevée) et hypertension (pression artérielle élevée). Les effets indésirables graves les plus couramment observés sont les fractures traumatiques (une fracture causée par exemple par une chute ou un accident) et la compression de la moelle épinière due à l'hématopoïèse extramédullaire (formation de cellules sanguines hors de la moelle osseuse).

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 de Reblozyl. Les patients nécessitant un traitement pour contrôler la croissance de masses d'hématopoïèse extramédullaire (formation de cellules sanguines hors de la moelle osseuse) ne doivent pas utiliser Reblozyl.

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 peut réduire la nécessité de recourir à des transfusions sanguines chez les patients atteints de syndromes myélodysplasiques ou de bêta-thalassémie, tandis que ses effets indésirables sont considérés comme gérables. Chez les patients atteints de bêta-thalassémie ne nécessitant pas de transfusions régulières, les taux d'hémoglobine plus élevés devraient améliorer leurs résultats. L'Agence européenne des médicaments a donc estimé que les bénéfices de Reblozyl sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée 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 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 sous Reblozyl sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Reblozyl:

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Reblozyl le 25 juin 2020.

De plus amples informations sur Reblozyl sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl

Dernière mise à jour du présent aperçu: 03-2024.