



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/88452/2024

EMA/H/C/004444

Reblozyl (*luszpatercept*)

A Reblozyl-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Reblozyl és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Reblozyl-t vérszegénység (a vörösvérsejtek alacsony szintje) kezelésére alkalmazzák az alábbi vérképzőszervi betegségekben szenvedő felnőtteknél:

- mielodiszpláziás szindrómák, azaz olyan betegségek csoportja, amelyeknél a csontvelő túl kevés vörsejtet termel. A Reblozyl-t olyan betegeknek alkalmazzák, akiknél rendszeres vérátömlesztésre van szükség, és akiknél nagyon alacsony, alacsony vagy közepes mértékben áll fenn annak a kockázata, hogy a betegségük akut mieloid leukémiává (egy vérképzőszervi daganat) alakul;
- béta-thalasszémia, egy genetikai betegség, amelyre az jellemző, hogy a szervezet nem képes a béta-globint (azaz a szervezetben az oxigén szállítását végző, a vörösvérsejtekben található fehérje, a hemoglobin egyik alkotóelemét) elegendő mennyiségben előállítani.

Mivel az említett betegségek „ritkának” minősülnek, a Reblozyl-t „ritka betegségek elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található ([mielodiszpláziás szindrómák](#): 2014. augusztus 22.; [béta-thalasszémia](#): 2014. július 29).

A gyógyszer hatóanyaga a luszpatercept.

Hogyan kell alkalmazni a Reblozyl-t?

A Reblozyl csak receptre kapható. A kezelést a vérképzőszervi betegségek kezelésében jártas orvosnak kell megkezdenie.

A gyógyszert a felkar, a comb vagy a has bőre alá adott injekcióként alkalmazzák. Az ajánlott adag a beteg testtömegétől függ, és azt a beteg kezelésre adott válaszána megfelelően állítják be. A gyógyszert háromhetente egyszer kell alkalmazni. Súlyos mellékhatások jelentkezése esetén, azok javulásáig a kezelést el kell halasztani.

A Reblozyl alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



Hogyan fejti ki hatását a Reblozyl?

A Reblozyl hatóanyaga, a luszpatercept, a vörösvérsejtek termelődését szabályozza. Ezt a Smad2/3 nevű jelátviteli út gátlásával teszi, amely lelassítja a vörösvérsejtek érését és túlműködik a béta-thalasszémiában és a mielodiszpláziás szindrómákban szenvedő betegeknél. A Smad2/3 gátlásával növekszik a vörösvérsejtek termelődésének mértéke, és lehetővé válik azok normális fejlődése.

Milyen előnyei voltak a Reblozyl alkalmazásának a vizsgálatok során?

Mielodiszpláziás szindrómák

Egy fő vizsgálatban 229, mielodiszpláziás szindrómában szenvedő, rendszeres vérátömlesztést igénylő felnőtt vett részt. A betegek a szokásos kezelés mellett Reblozyl-t vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelést) kaptak; a Reblozyl-t kapott 153 beteg közül 58-nak (38%) legalább 8 héten keresztül nem volt szüksége vérátömlesztésre, míg a placebót kapott betegeknél ez az arány 76-ból 10 (13%) volt.

Egy másik fő vizsgálatban, amelyben 363, mielodiszpláziás szindrómában szenvedő, rendszeres vérátömlesztést igénylő felnőtt vett részt, a betegek Reblozyl-t vagy alfa-epoetint (a vérszegénység kezelésére szolgáló másik gyógyszer) kaptak: a Reblozyl-lal kezelt betegek 60%-ánál (182-ből 110-nél) legalább 12 hétig nem volt szükség vérátömlesztésre, és hemoglobinszintjük legalább 1,5 g/dl-rel emelkedett, szemben az alfa-epoetinnel kezelt betegek 35%-ával (181-ből 63).

Béta-thalasszémiia

Egy fő vizsgálatban 336, béta-thalasszémiában szenvedő, rendszeres vérátömlesztést igénylő beteg vett részt. A betegek a szokásos kezelés mellett vagy Reblozyl-t vagy placebót kaptak. A Reblozyl-t kapott 224 beteg közül 47-nél (21%) csökkent a vérátömlesztések száma legalább egyharmadával (33%), míg a placebót kapott betegeknél ez az arány 112-ből 5 (4,5%) volt.

Egy második fő vizsgálatban béta-thalasszémiában szenvedő, rendszeres vérátömlesztést nem igénylő betegek vettek részt. A betegek a szokásos kezelés mellett legalább 48 héten át vagy Reblozyl-t vagy placebót kaptak. 12 hét után a Reblozyl-t kapott 96 betegből 74 (77%) esetében növekedett a hemoglobinszint legalább 1 g/dl-rel vérátömlesztés szükségessége nélkül, míg a placebót kapott 49 beteg egyikénél sem tapasztalták ezt.

Milyen kockázatokkal jár a Reblozyl alkalmazása?

A Reblozyl alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Mielodiszpláziás szindrómában szenvedő betegeknél a Reblozyl leggyakoribb mellékhatásai (100 beteg közül több mint 15-nél jelentkezhet) a fáradékonyság, a hasmenés, a hányinger, a gyengeség, a szédülés, a perifériás ödéma (folyadék-visszatartás miatti duzzanat, különösen a boka és a lábfej területén) és a hátfájás. A leggyakoribb súlyos mellékhatások közé tartozik a húgyúti fertőzés (a vizeletelvezető képletek fertőzése), a nehézlégzés és a hátfájdalom.

A vérátömlesztést igénylő béta-thalasszémiában szenvedő betegeknél a Reblozyl leggyakoribb mellékhatásai (100 beteg közül több mint 15-nél jelentkezhet) a fejfájás, valamint a csont- és ízületi fájdalom. A leggyakoribb súlyos mellékhatások közé tartoznak a vénákban kialakuló vérrögök miatti problémák, például a mélyvénás trombózis, a portális vénás trombózis (a májat ellátó vénákban képződő vérrögök), az iszkémiás sztrók (az agyi vérkeringés hirtelen leállása a vérellátás zavara miatt) és a tüdőembólia (a tüdőt ellátó vénákban képződő vérrögök).

A rendszeres vérátömlesztést nem igénylő béta-thalasszémiában szenvedő betegeknél a Reblozyl leggyakoribb mellékhatásai (100 beteg közül több mint 15-nél jelentkezhetsz) a csontfájdalom, a hátfájás és az ízületi fájdalom, a fejfájás, valamint az emelkedett (a normál tartományon belül magasnak minősülő) és a magas vérnyomás. A leggyakoribb súlyos mellékhatás a traumás törés (például esés vagy baleset által okozott csonttörés) és a gerincvelőnek az extramedulláris hemopoezis tömeg (csontvelőn kívüli véresejtképződés) miatti összenyomódása.

Terhesség alatt a Reblozyl nem alkalmazható. Fogamzóképes korban lévő nőknek hatékony fogamzásgátlást kell alkalmazniuk a kezelés alatt és a Reblozyl utolsó adagjának beadását követően legalább 3 hónapig. Az extramedulláris hemopoezis tömeg növekedésének (csontvelőn kívüli véresejtképződés) kontrollálása érdekében kezelést igénylő betegeknél nem alkalmazható a Reblozyl.

Miért engedélyezték a Reblozyl forgalomba hozatalát az EU-ban?

A gyakori vérátömlesztéssel járó kezelés a vas szervezetben való felhalmozódásához vezethet, ami károsíthatja a szerveket. Mielodiszplázias szindrómában vagy béta-thalasszémiában szenvedő betegeknél a Reblozyl csökkentheti a vérátömlesztés szükségességét, miközben mellékhatásai kezelhetőnek tekinthetők. A rendszeres vérátömlesztést nem igénylő béta-thalasszémiában szenvedő betegeknél a magasabb hemoglobinszint várhatóan javítja a betegség kimenetelét. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Reblozyl alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Reblozyl biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Reblozyl-t forgalmazó vállalat oktatócsomaggal fogja ellátni a gyógyszert felíró orvosokat, amelyben elmagyarázza, hogy a gyógyszer ártalmas lehet a magzatra, és részletezi a gyógyszer biztonságos alkalmazásához szükséges lépéseket. A fogamzóképes korban lévő nők számára figyelmeztető kártyát biztosít a terhesség elkerülése érdekében teendő intézkedésekről.

A Reblozyl biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegájékoztatóban.

A Reblozyl alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Reblozyl alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Reblozyl-lal kapcsolatos egyéb információ

2020. június 25-én a Reblozyl az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Reblozyl-lal kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 03-2024.