



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/82707/2025
EMA/H/C/006105

Rytelo (*imetelstat*)

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

Milyen típusú gyógyszer a Rytelo és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Rytelo vérszegénység (a vörösvérsejtek alacsony szintje) kezelésére mielodiszpláziás szindrómákban szenvedő felnőtteknél alkalmazott gyógyszer. Ez egy olyan betegségcsoport, amelyre az jellemző, hogy a csontvelő rendellenes vérsejteket és túl kevés egészséges vérsejtet termel.

A Rytelo-t olyan betegeknek alkalmazzák, akiknél nem áll fenn izolált 5q deléció (non-del 5q) citogenetikai rendellenesség, rendszeres vérátömlesztésre van szükségük, és akiknél nagyon alacsonytól közepes mértékig terjed a kockázata annak, hogy a betegségük akut mieloid leukémiává (egy vérképzőszervi daganat) alakul. A gyógyszert olyan betegeknek alkalmazzák, akik nem reagáltak kielégítően vagy nem minősültek alkalmasnak az eritropoietinnel (a vörösvérsejt-termelődést serkentő hormon) végzett terápiára.

Mivel a mielodiszpláziás szindrómák „ritkának” minősülnek, ezért a Rytelo-t 2020. július 27-én „ritka betegségek elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Rytelo hatóanyaga az imetelstat.

Hogyan kell alkalmazni a Rytelo-t?

A Rytelo-t általában körülbelül két órán keresztül, négyhetente egyszer vénába beadott infúzióként kell alkalmazni. Az ajánlott adag a beteg testtömegétől függ, és mellékhatások esetén módosítható. A betegeknek minden infúzió előtt legalább 30 perccel az infúzió lehetséges mellékhatásainak megelőzésére vagy csökkentésére szolgáló gyógyszereket kell adni.

Minden adag beadása előtt teljes vérsejtszám- és májfunkciós vizsgálatokat kell végezni. Az első két adag beadása után ajánlott hetente ellenőrizni a vérsejtszámot. A kezelés megkezdése előtt a fogamzóképes korban lévő nőknek terhességi tesztet kell végezniük.

A kezelést le kell állítani, ha a vérátömlesztés szükségessége nem csökken 24 hét elteltével (hat adag), vagy ha a mellékhatások elfogadhatatlanná válnak.



A Rytelo csak receptre kapható. A kezelést a vérbetegségek kezelésében tapasztalattal rendelkező egészségügyi szakemberek felügyelete mellett kell végezni és figyelemmel kísérni.

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

Hogyan fejti ki hatását a Rytelo?

A Rytelo hatóanyaga, az imetelstat, a sejtek növekedését és osztódását segítő, telomeráz nevű enzim aktivitását gátolja. A telomeráz gátlásával a gyógyszer csökkenti a rendellenes vérsejtek növekedését és elősegíti azok elpusztulását.

Milyen előnyei voltak a Rytelo alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy 178, mielodiszpláziás szindrómákban szenvedő, rendszeres vérátömlesztést igénylő felnőtt részvételével végzett fő vizsgálatban a betegek a támogató kezelés mellett Rytelo-t vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelést) kaptak.

A vizsgálatban Rytelo-t kapott 118 beteg közül 36-nak (30,5%) legalább 8 héten keresztül nem volt szüksége vérátömlesztésre, míg a placebót kapott betegeknél ez az arány 60 betegből 6 (10%) volt.

Milyen kockázatokkal jár a Rytelo alkalmazása?

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

A Rytelo leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a trombocitopénia (a véralvadást segítő komponensek, a vérlemezkék alacsony szintje), a neutropénia (a fehérvérsejtek egy típusának, a fertőzések ellen védelmet biztosító neutrofileknek az alacsony szintje), a megnövekedett májenzimszint (esetleges májproblémák jele), a fáradtság és a fejfájás.

Egyes mellékhatások súlyosak lehetnek. A leggyakoribb súlyos mellékhatások (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a szepszis (amikor a baktériumok és toxinjaik a vérben keringenek, ami szervkárosodáshoz vezet), a húgyúti fertőzés (a szervezet vizeletet gyűjtő és ürítő részeinek fertőzése), a pitvarfibrilláció (a szív felső kamráinak szabálytalan és koordinálatlan összehúzódásai), a nyelőcsővarix-vérzés (a nyelőcső, azaz a szájüregből a gyomorba vezető cső nyálkahártyájának duzzadt vénáiból eredő vérzés), az ájulás és a trombocitopénia.

Miért engedélyezték a Rytelo forgalomba hozatalát az EU-ban?

A gyakori vérátömlesztéssel járó kezelés a vas szervezetben való felhalmozódásához vezethet, ami károsíthatja a szerveket. A Rytelo csökkentheti a vérátömlesztés szükségességét a mielodiszpláziás szindrómákban szenvedő betegeknél, míg mellékhatásai kezelhetőnek tekinthetők az érvényben lévő kiegészítő intézkedésekkel, például a vérsejtszám és a májfunkció monitorozásával.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Rytelo alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

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

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

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

A Rytelo-val kapcsolatos egyéb információ

A Rytelo-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/rytelo.