



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/88452/2024

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 (bassi livelli di globuli rossi) 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 necessitano di trasfusioni regolari di sangue e che presentano un rischio da molto basso a moderato che la loro affezione progredisca in leucemia mieloide acuta (un tumore del sangue);
- beta-talassemia, un'affezione 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). Ulteriori informazioni sulle qualifiche 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?

Reblozyl può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere iniziato da un medico esperto nel trattamento delle malattie ematologiche.

Il medicinale è somministrato tramite iniezione sottocutanea (sotto la pelle) nel braccio, nella coscia o nell'addome. La dose raccomandata dipende dal peso corporeo del paziente e viene aggiustata in base alla sua risposta. Il trattamento viene somministrato una volta ogni tre 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 lo sviluppo 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

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

In un altro studio principale condotto su 363 adulti con sindromi mielodisplastiche che necessitavano di trasfusioni regolari di sangue, i pazienti sono stati trattati con Reblozyl o epoetina alfa (un altro medicinale per l'anemia): il 60 % (110 su 182) dei pazienti trattati con Reblozyl non ha avuto bisogno di una trasfusione di sangue per almeno 12 settimane e ha registrato un aumento dei livelli di emoglobina di almeno 1,5 g/dL rispetto al 35 % (63 su 181) dei pazienti trattati con epoetina alfa.

Beta-talassemia

Uno studio principale è stato condotto su 336 pazienti con beta-talassemia che necessitavano di trasfusioni regolari di sangue. Ai pazienti è stato somministrato Reblozyl o un placebo in aggiunta al trattamento standard. Le trasfusioni di sangue sono state ridotte di almeno un terzo (33 %) in 47 pazienti su 224 (21 %) a cui era stato somministrato Reblozyl rispetto a 5 pazienti su 112 (4,5 %) che avevano assunto un placebo.

Un secondo studio principale è stato condotto su pazienti con beta-talassemia che non necessitavano di trasfusioni regolari di sangue. Ai pazienti è stato somministrato Reblozyl o un placebo unitamente al trattamento standard per almeno 48 settimane. Dopo 12 settimane, 74 dei 96 pazienti trattati con Reblozyl (77 %) hanno manifestato un aumento di almeno 1 g/dL nel livello di emoglobina senza necessità di trasfusioni, rispetto a nessuno dei 49 pazienti che avevano ricevuto un placebo.

Quali sono i rischi associati a Reblozyl?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Reblozyl, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Reblozyl nei pazienti affetti da sindromi mielodisplastiche (che possono riguardare più di 15 persone su 100) comprendono stanchezza, diarrea, nausea, debolezza, capogiri, edema periferico (gonfiore dovuto alla ritenzione di liquidi, in particolare alle caviglie e ai piedi) e dolore dorsale (mal di schiena). Gli effetti indesiderati gravi più comuni comprendono infezione delle vie urinarie (infezione delle strutture che trasportano l'urina), dispnea e dolore dorsale.

Gli effetti indesiderati più comuni di Reblozyl nei pazienti con beta-talassemia che necessitano di trasfusioni (che possono riguardare più di 15 persone su 100) comprendono mal di testa, dolore osseo e dolore articolare. Gli effetti indesiderati gravi più comuni comprendono effetti dovuti a coaguli di sangue nelle vene quali trombosi venosa profonda, trombosi della vena porta (coaguli nelle vene che irrorano il fegato), ictus ischemico (un'improvvisa interruzione della circolazione sanguigna nel cervello).

causata da un blocco nell'afflusso di sangue) ed embolia polmonare (coaguli nelle vene che irrorano i polmoni).

Gli effetti indesiderati più comuni di Reblozyl nei pazienti affetti da beta-talassemia che non necessitano di trasfusioni regolari (che possono riguardare più di 15 persone su 100) comprendono dolore osseo, dolore dorsale e dolore articolare, mal di testa e preipertensione (pressione del sangue normale-alta) e ipertensione (pressione del sangue elevata). Gli effetti indesiderati gravi più comuni sono frattura traumatica (una frattura causata, ad esempio, da una caduta o un incidente) e compressione del midollo spinale dovuta a emopoiesi extramidollare (sviluppo di cellule ematiche al di fuori del midollo osseo).

Reblozyl non deve essere somministrato durante la gravidanza. Le donne in età fertile devono usare una contraccezione efficace durante il trattamento e per almeno tre mesi dopo l'ultima dose di Reblozyl. I pazienti che necessitano di un trattamento per controllare la crescita delle masse di emopoiesi extramidollare non devono utilizzare Reblozyl.

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 può ridurre la necessità di trasfusioni di sangue in pazienti con sindromi mielodisplastiche o beta-talassemia e i suoi effetti indesiderati sono considerati gestibili. Nei pazienti affetti da beta-talassemia che non necessitano di trasfusioni regolari si prevede che livelli più elevati di emoglobina migliorino l'esito della malattia. 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 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

Reblozyl ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 25 giugno 2020.

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

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 03-2024.