



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/88452/2024

EMA/H/C/004444

## Reblozyl (*luspatercepts*)

*Reblozyl* pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

### Kas ir *Reblozyl* un kāpēc tās lieto?

*Reblozyl* ir zāles, ko lieto anēmijas (zema sarkano asins šūnu līmeņa) ārstēšanai pieaugušajiem ar šādām asins slimībām:

- mielodisplastiskie sindromi, kas ir tādu traucējumu grupa, kad kaulu smadzenes ražo pārāk maz asins šūnu. *Reblozyl* lieto pacientiem, kuriem nepieciešama regulāra asins pārliešana un kuriem ir ļoti zems vai vidējs risks, ka viņu stāvoklis var pasliktināties līdz akūtai mieloīdai leukēmijai (asins vēzis);
- bēta-talasēmija — ģenētiska slimība, kad pacientiem netiek pietiekamā daudzumā sintezēta hemoglobīna sastāvdaļa bēta-globīns (sarkano asins šūnu olbaltumviela, kas apgādā organismu ar skābekli).

Šīs slimības ir "retas", un *Reblozyl* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama Eiropas Zāļu aģentūras tīmekļa vietnē ([mielodisplastiskie sindromi](#): 2014. gada 22. augusts; [bēta-talasēmija](#): 2014. gada 29. jūlijs).

Šīs zāles satur aktīvo vielu luspaterceptu.

### Kā lieto *Reblozyl*?

*Reblozyl* var iegādāties tikai pret recepti. Ārstēšana jāuzsāk ārstam ar pieredzi asins slimību ārstēšanā.

Zāles ievada kā zemādas injekciju augšdelmā, augšstilbā vai vēderā. Ieteicamā deva ir atkarīga no pacienta ķermeņa masas un tiek pielāgota atkarībā no pacienta atbildes reakcijas. Zāles lieto vienreiz trīs nedēļās. Ja pacientam rodas smagas blakusparādības, ārstēšana ir jāatliek, līdz blakusparādības ir mazinājušās.

Papildu informāciju par *Reblozyl* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

### Kā *Reblozyl* darbojas?

*Reblozyl* aktīvā viela luspatercepts regulē sarkano asins šūnu attīstību. Tas bloķē signālu pārvades ceļu, ko dēvē par Smad2/3, kurš palēnina sarkano asins šūnu nobriešanu un ir pārmērīgi aktīvs

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



pacienti ar bēta-talasēmiju un mielodisplastiskajiem sindromiem. Bloķējot Smad2/3, palielinās sarkano asins šūnu producēšana un tās var normāli attīstīties.

## Kādi *Reblozyl* ieguvumi atklāti pētījumos?

### Mielodisplastiskie sindromi

Pamatpētījumā tika iesaistīti 229 pieaugušie ar mielodisplastiskajiem sindromiem, kuriem nepieciešama regulāra asins pārliešana. Papildus normālai standarta aprūpei pacienti saņēma *Reblozyl* vai placebo (fiktīvu ārstēšanu); 58 no 153 pacientiem (38 %), kuri lietoja *Reblozyl*, asins pārliešana nebija nepieciešama vismaz 8 nedēļas, salīdzinot ar 10 no 76 pacientiem (13 %), kuri saņēma placebo.

Citā pamatpētījumā, iesaistot 363 pieaugušos ar mielodisplastiskiem sindromiem, kuriem nepieciešama regulāra asins pārliešana, pacienti saņēma *Reblozyl* vai alfa epoetīnu (citas zāles anēmijas ārstēšanai): 60 % (110 no 182) pacientu, kuri saņēma *Reblozyl*, vismaz 12 nedēļas nebija nepieciešama asins pārliešana un hemoglobīna līmenis viņiem palielinājās par vismaz 1,5 g/dl, salīdzinot ar 35 % pacientu (63 no 181), kuri saņēma alfa epoetīnu.

### Bēta-talasēmija

Pamatpētījumā tika iesaistīti 336 pacienti ar bēta-talasēmiju, kuriem nepieciešama regulāra asins pārliešana. Papildus standarta ārstēšanai pacienti saņēma vai nu *Reblozyl*, vai placebo. Asins pārliešanas gadījumu skaits samazinājās par vismaz vienu trešdaļu (33 %) 47 no 224 pacientiem (t.i., 21 % no kopskaita), kuri lietoja *Reblozyl*, salīdzinot ar 5 no 112 pacientiem (4,5 %), kuri saņēma placebo.

Otrā pamatpētījumā piedalījās pacienti ar bēta-talasēmiju, kuriem nebija nepieciešama regulāra asins pārliešana. Pacienti 12 nedēļas saņēma *Reblozyl* vai placebo kopā ar standarta terapiju. Pēc 12 nedēļām 74 no 96 pacientiem, kuri saņēma *Reblozyl* (77 %), hemoglobīna līmenis bija palielinājies par vismaz 1 g/dl bez asins pārliešanām, salīdzinot ar nevienu no 49 pacientiem, kuri saņēma placebo.

## Kāds risks pastāv, lietojot *Reblozyl*?

Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Reblozyl*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Reblozyl* blakusparādības pacientiem ar mielodisplastiskajiem sindromiem (kas var rasties vairāk nekā 15 no 100 cilvēkiem) ir nogurums, caureja, slikta dūša (nelabums), vājums, reibonis, perifēra tūska (pietūkums šķidrums aiztures dēļ, jo īpaši potīšu un pēdu apvidū) un muguras sāpes. Visbiežākās nopietnās blakusparādības ir urīnceļu infekcija (urīnizvadceļu infekcija), dispnoja un muguras sāpes.

Visbiežākās *Reblozyl* blakusparādības pacientiem ar bēta-talasēmiju, kuriem vajadzīga asins pārliešana (kas var rasties vairāk nekā 15 no 100 cilvēkiem) ir galvassāpes, kaulu un locītavu sāpes. Visbiežākās nopietnās blakusparādības ir tās, ko izraisa trombi vēnās, piemēram, dziļo vēnu tromboze, vārtu vēnas tromboze (trombi vēnās, kas apasiņo aknas), išēmisks insults (pēkšņs asins plūsmas pārtraukums galvas smadzenēs, ko izraisa asins apgādes nosprostošanās) un plaušu embolija (trombi vēnās, kas apasiņo plaušas).

Visbiežākās *Reblozyl* blakusparādības pacientiem ar bēta-talasēmiju, kuriem nav nepieciešama regulāra asins pārliešana (kas var rasties vairāk nekā 15 no 100 cilvēkiem), ir kaulu, muguras un locītavu sāpes, galvassāpes un pirmshīpertensija (paaugstināts asinsspiediens) un hipertensija (augsts asinsspiediens). Visbiežāk novērotās nopietnās blakusparādības ir traumatiski lūzumi (tādi, ko izraisa, piemēram, kritiens vai negadījums) un mugurkaula kompresija ekstramedulāras hemopoēzes dēļ (asins šūnu veidošanās ārpus kaulu smadzenēm).

*Reblozyl* nedrīkst lietot grūtniecības laikā. Sievietēm, kurām var iestāties grūtniecība, ārstēšanas laikā un vismaz trīs mēnešus pēc pēdējās *Reblozyl* devas ir jālieto efektīva kontracepcija. *Reblozyl* nedrīkst lietot pacienti, kuriem nepieciešama ārstēšana, lai kontrolētu ekstramedulārās hemopoēzes masas (asins šūnu veidošanās ārpus kaulu smadzenēm) augšanu.

## **Kāpēc *Reblozyl* ir reģistrētas ES?**

Ārstēšanā izmantojot biežu asins pārliešanu, organismā var uzkrāties dzelzs un tādējādi bojāt orgānus. *Reblozyl* var samazināt asins pārliešanas nepieciešamību pacientiem ar mielodisplastiskiem sindromiem vai bēta-talasēmiju, kamēr šo zāļu blakusparādības tiek uzskatītas par kontrolējamām. Pacientiem ar bēta-talasēmiju, kuriem nav nepieciešama regulāra asins pārliešana, paredzams, ka augstāks hemoglobīna līmenis uzlabos pacientu ārstēšanas rezultātus. Tāpēc Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Reblozyl*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

## **Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Reblozyl* lietošanu?**

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Reblozyl*, nodrošinās izglītojošus materiālus ārstiem, kuri izrakstīs *Reblozyl*, izskaidrojot šo zāļu kaitīgumu vēl nedzimušam bērnam un precizējot veicamos pasākumus šo zāļu drošai lietošanai. Tas arī nodrošinās kartītes sievietēm, kurām var iestāties grūtniecība, par drošības pasākumiem, kas jāveic grūtniecības novēršanai.

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Reblozyl* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Reblozyl* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Reblozyl* lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

## **Cita informācija par *Reblozyl***

2020. gada 25. jūnijā *Reblozyl* saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par *Reblozyl* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl)

Šis pārskats pēdējo reizi atjaunināts 2024. gada martā.