



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/88452/2024

EMA/H/C/004444

Reblozyl (*luspatercept*)

Przegląd wiedzy na temat leku Reblozyl i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Reblozyl i w jakim celu się go stosuje

Reblozyl to lek stosowany w leczeniu niedokrwistości (niskiego miana krwinek czerwonych) u osób dorosłych z następującymi zaburzeniami krwi:

- zespoły mielodysplastyczne — grupa schorzeń, w przebiegu których szpik kostny wytwarza zbyt mało komórek krwi. Lek Reblozyl stosuje się u pacjentów wymagających regularnych transfuzji krwi, z bardzo niskim do umiarkowanego ryzykiem transformacji w ostrą białaczkę szpikową (nowotwór krwi);
- beta-talasemia — choroba genetyczna, w przebiegu której organizm pacjenta nie wytwarza wystarczającej ilości podjednostki beta hemoglobiny (białka krwinek czerwonych, które transportuje tlen w organizmie).

Ze względu na to, że choroby te rzadko występują, lek Reblozyl uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć na stronie internetowej EMA ([zespoły mielodysplastyczne](#): 22 sierpnia 2014 r.; [beta-talasemia](#): 29 lipca 2014 r.).

Substancją czynną zawartą w leku Reblozyl jest luspatercept.

Jak stosować lek Reblozyl

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać lekarz z doświadczeniem w terapii chorób krwi.

Lek podaje się w postaci wstrzyknięcia podskórnego w ramię, udo lub brzuch. Zalecana dawka zależy od masy ciała pacjenta i jest dostosowywana zgodnie z odpowiedzią pacjenta na leczenie. Lek podaje się raz na 3 tygodnie. W przypadku wystąpienia ciężkich działań niepożądanych podanie leku należy opóźnić do momentu osłabnięcia takich działań.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Reblozyl znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzielią ich lekarz lub farmaceuta.



Jak działa lek Reblozyl

Substancja czynna leku Reblozyl, luspatercept, reguluje rozwijanie się krwinek czerwonych przez blokowanie szlaku sygnałowego noszącego nazwę Smad2/3, który spowalnia dojrzewanie krwinek czerwonych i wykazuje nadmierną aktywność u pacjentów z beta-talasemią i zespołami mielodysplastycznymi. Blokada szlaku Smad2/3 zwiększa wytwarzanie krwinek czerwonych i pozwala im rozwijać się prawidłowo.

Korzyści ze stosowania leku Reblozyl wykazane w badaniach

Zespoły mielodysplastyczne

W badaniu głównym uczestniczyło 229 osób dorosłych z zespołami mielodysplastycznymi, którzy wymagali regularnych transfuzji krwi. Pacjenci otrzymywali albo lek Reblozyl albo placebo (leczenie pozorowane) jako uzupełnienie standardowego leczenia. U 58 ze 153 (38%) pacjentów przyjmujących lek Reblozyl transfuzja krwi nie była konieczna przez co najmniej 8 tygodni w porównaniu z 10 z 76 (13%) pacjentów otrzymujących placebo.

W innym badaniu głównym z udziałem 363 osób dorosłych z zespołami mielodysplastycznymi wymagających regularnych transfuzji krwi pacjentom podawano lek Reblozyl albo epoetynę alfa (inny lek stosowany w leczeniu niedokrwistości). 60% (110 ze 182) pacjentów otrzymujących lek Reblozyl — w porównaniu z 35% (63 ze 181) pacjentów otrzymujących epoetynę alfa — nie wymagało transfuzji krwi przez co najmniej 12 tygodni przy jednoczesnym wzroście stężenia hemoglobiny o co najmniej 1,5 g/dl.

Beta-talasemia

W jednym badaniu głównym uczestniczyło 336 pacjentów z beta-talasemią, którzy wymagali regularnej transfuzji krwi. Pacjenci otrzymywali albo lek Reblozyl albo placebo jako uzupełnienie standardowego leczenia. Liczba transfuzji krwi została zredukowana o co najmniej jedną trzecią (33%) u 47 z 224 (21%) pacjentów przyjmujących lek Reblozyl w porównaniu z 5 ze 112 (4,5%) pacjentów otrzymujących placebo.

W drugim badaniu głównym uczestniczyli pacjenci z beta-talasemią, którzy nie wymagali transfuzji. Pacjenci otrzymywali albo lek Reblozyl albo placebo wraz ze standardowym leczeniem przez co najmniej 48 tygodni. Po 12 tygodniach u 74 z 96 (77%) pacjentów otrzymujących lek Reblozyl stężenie hemoglobiny — przy braku konieczności transfuzji krwi — wzrosło o co najmniej 1 g/dl w porównaniu z 0 z 49 pacjentów otrzymujących placebo.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Reblozyl

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Reblozyl znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Reblozyl u pacjentów z zespołami mielodysplastycznymi (mogące wystąpić częściej niż u 15 na 100 pacjentów) to: zmęczenie, biegunka, nudności (mdłości), osłabienie, zawroty głowy, obrzęk obwodowy (obrzęk wskutek zatrzymania płynów, zwłaszcza w rejonie kostek i stóp) oraz ból pleców. Najczęstsze ciężkie działania niepożądane to: zakażenie układu moczowego (zakażenie dróg, którymi przepływa mocz), duszności i ból pleców.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Reblozyl u pacjentów z beta-talasemią wymagających transfuzji (mogące wystąpić częściej niż u 15 na 100 pacjentów) to: ból głowy, bóle kości i bóle stawów. Najczęstsze ciężkie działania niepożądane obejmują działania związane z powstawaniem zakrzepów krwi w żyłach, jak np. zakrzepica żył głębokich, zakrzepica żyły

wrotnej (zakrzepy w żyłach doprowadzających krew do wątroby), niedokrwieny udar mózgu (nagłe przerwanie przepływu krwi w mózgu z powodu blokady naczyń doprowadzających krew) i zatorowość płucna (zakrzepy w żyłach doprowadzających krew do płuc).

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Reblozyl u pacjentów z beta-talasemią, którzy nie wymagali regularnych transfuzji, (mogące wystąpić częściej niż u 15 na 100 pacjentów), to: bóle kości, pleców i stawów, ból głowy i stan przednadcisnieniowy (wysokie, ale prawidłowe ciśnienie krwi) oraz nadciśnienie (wysokie ciśnienie tętnicze krwi). Najczęstsze ciężkie działania niepożądane to złamanie urazowe (złamanie spowodowane np. upadkiem lub wypadkiem) i ucisk rdzenia kręgowego z powodu hemopoezy pozaszpikowej (powstawania krwinek poza szpikiem kostnym).

Leku Reblozyl nie należy stosować w okresie ciąży. Kobiety mogące zajść w ciążę muszą stosować skuteczne metody antykoncepcji w czasie leczenia i co najmniej przez 3 miesiące po przyjęciu ostatniej dawki leku Reblozyl. Pacjenci wymagający leczenia w celu kontroli wzrostu mas z powodu hemopoezy pozaszpikowej (powstawania krwinek poza szpikiem kostnym) nie mogą stosować leku Reblozyl.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Reblozyl w UE

Leczenie przez częste transfuzje krwi może prowadzić do gromadzenia się w organizmie żelaza, co może uszkadzać narządy. Lek Reblozyl może zmniejszyć konieczność wykonywania transfuzji krwi u pacjentów z zespołami mielodysplastycznymi lub beta-talasemią, a jego działania niepożądane uznaje się za możliwe do kontrolowania. W przypadku pacjentów z beta-talasemią niewymagających regularnych transfuzji oczekuje się, że wyższe stężenia hemoglobiny poprawią wyniki leczenia. Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Reblozyl przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Reblozyl

Firma, która wprowadza lek Reblozyl do obrotu, przekaże zestawy edukacyjne dla lekarzy przepisujących lek Reblozyl, wyjaśniające możliwy szkodliwy wpływ leku na nienarodzone dzieci oraz zawierające szczegółowy opis działań, jakie należy podjąć w celu bezpiecznego stosowania leku. Przekaze ona też kobietom mogącym zajść w ciążę karty dotyczące środków pozwalających uniknąć zajścia w ciążę.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Reblozyl w Charakterystyce Produktu Leczniczego i Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Reblozyl są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Reblozyl są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Reblozyl

Lek Reblozyl otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 25 czerwca 2020 r.

Dalsze informacje dotyczące leku Reblozyl znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl

Data ostatniej aktualizacji: 03.2024.