

EMA/88452/2024  
EMEA/H/C/004444

## Reblozyl (*luspatercept*)

Um resumo sobre Reblozyl e por que está autorizado na UE

### O que é Reblozyl e para que é utilizado?

Reblozyl é um medicamento utilizado no tratamento da anemia (níveis baixos de glóbulos vermelhos) em adultos com as seguintes doenças do sangue:

- síndromes mielodisplásicas, um grupo de doenças em que a medula óssea não produz células sanguíneas suficientes. Reblozyl é utilizado em doentes que necessitam de transfusões de sangue regulares e com um risco muito baixo a moderado de desenvolver leucemia mieloide aguda (um cancro do sangue);
- beta-talassemia, uma doença genética na qual os doentes não produzem quantidades suficientes de beta-globina, um constituinte da hemoglobina (a proteína presente nos glóbulos vermelhos responsável pelo transporte de oxigénio através do organismo).

Estas doenças são raras e Reblozyl foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras). Estão disponíveis mais informações sobre a designação de medicamento órfão no sítio Web da Agência Europeia de Medicamentos ([síndromes mielodisplásicas](#): 22 de agosto de 2014; [beta-talassemia](#): 29 de julho de 2014).

O medicamento contém a substância ativa luspatercept.

### Como se utiliza Reblozyl?

Reblozyl só pode ser obtido mediante receita médica. O tratamento deve ser iniciado por um médico com experiência no tratamento de doenças do sangue.

O medicamento é administrado por injeção subcutânea (sob a pele) na parte superior do braço, na coxa ou na barriga. A dose diária recomendada depende do peso corporal do doente e é ajustada com base na resposta do doente ao tratamento. O tratamento é administrado uma vez a cada 3 semanas. Se o doente desenvolver efeitos secundários graves, o tratamento deve ser adiado até os efeitos secundários melhorarem.

Para mais informações sobre a utilização de Reblozyl, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.



## **Como funciona Reblozyl?**

A substância ativa de Reblozyl, o luspatercept, regula o desenvolvimento dos glóbulos vermelhos. Atua bloqueando uma via de sinalização denominada Smad2/3 que abrandava a maturação dos glóbulos vermelhos e é hiperativa em doentes com beta-talassemia e síndromes mielodisplásicas. Ao bloquear a Smad2/3 aumenta a produção de glóbulos vermelhos, permitindo que se desenvolvam normalmente.

## **Quais os benefícios demonstrados por Reblozyl durante os estudos?**

### **Síndromes mielodisplásicas**

Um estudo principal incluiu 229 adultos com síndromes mielodisplásicas que necessitavam de transfusões de sangue regulares. Os doentes receberam Reblozyl ou um placebo (um tratamento simulado), em complemento ao tratamento padrão normal; 58 dos 153 doentes (38 %) que receberam Reblozyl não necessitaram de transfusões de sangue durante, pelo menos, 8 semanas, em comparação com 10 dos 76 doentes (13 %) que receberam o placebo.

Num outro estudo principal que incluiu 363 adultos com síndromes mielodisplásicas que necessitavam de transfusões de sangue regulares, os doentes receberam Reblozyl ou epoetina alfa (outro medicamento para a anemia): 60 % (110 em 182) dos doentes que receberam Reblozyl não necessitaram de transfusões de sangue durante, pelo menos, 12 semanas e apresentaram um aumento dos níveis de hemoglobina de, pelo menos, 1,5 g/dl, em comparação com 35 % (63 em 181) dos doentes que receberam epoetina alfa.

### **Beta-talassemia**

Um estudo principal incluiu 336 doentes com beta-talassemia que necessitavam de transfusões de sangue regulares. Os doentes receberam Reblozyl ou um placebo, em complemento ao tratamento padrão. As necessidades de transfusões de sangue diminuíram, pelo menos, um terço (33 %) em 47 dos 224 doentes (21 %) que receberam Reblozyl, em comparação com 5 dos 112 (4,5 %) doentes que receberam o placebo.

Um segundo estudo principal incluiu doentes com beta-talassemia que não necessitavam de transfusões de sangue regulares. Os doentes receberam Reblozyl ou um placebo em associação com o tratamento padrão durante, pelo menos, 48 semanas. Após 12 semanas, 74 dos 96 doentes que receberam Reblozyl (77 %) apresentaram um aumento de, pelo menos, 1 g/dl nos níveis de hemoglobina sem necessidade de transfusões, em comparação com nenhum dos 49 doentes que receberam o placebo.

## **Quais são os riscos associados a Reblozyl?**

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Reblozyl, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Reblozyl em doentes com síndromes mielodisplásicas (que podem afetar mais de 15 em cada 100 pessoas) incluem cansaço, diarreia, náuseas (sensação de enjoo), fraqueza, tonturas, edema periférico (inchaço devido à retenção de líquidos, especialmente nos tornozelos e pés) e dor nas costas. Os efeitos secundários graves mais frequentes incluem infecção do trato urinário (infecção das estruturas que transportam a urina), dispneia e dor nas costas.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Reblozyl em doentes com beta-talassemia que necessitam de transfusões (que podem afetar mais de 15 em cada 100 pessoas) incluem dor de cabeça, dor nos ossos e dor nas articulações. Os efeitos secundários graves mais frequentes incluem

efeitos causados pela formação de coágulos de sangue nas veias, tais como trombose venosa profunda, trombose da veia porta (coágulos nas veias que irrigam o fígado), AVC isquémico (uma interrupção súbita do fluxo sanguíneo no cérebro causada por um bloqueio do fornecimento de sangue) e embolia pulmonar (coágulos nas veias que irrigam os pulmões).

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Reblozyl em doentes com beta-talassemia que não necessitam de transfusões regulares (que podem afetar mais de 15 em cada 100 pessoas) incluem dor nos ossos, nas costas e nas articulações, dor de cabeça e pré-hipertensão (tensão arterial normal elevada) e hipertensão (tensão arterial elevada). Os efeitos secundários graves mais frequentes são fratura traumática (uma fratura causada, por exemplo, por uma queda ou um acidente) e compressão da medula espinal devido a hematopoiese extramedular (desenvolvimento de células sanguíneas fora da medula óssea).

A administração de Reblozyl é contraindicada durante a gravidez. As mulheres com potencial para engravidar devem utilizar métodos contraceptivos eficazes durante o tratamento e durante, pelo menos, 3 meses após a última dose de Reblozyl. Reblozyl está contraindicado em doentes que necessitem de tratamento para controlar o crescimento de massas de hematopoiese extramedular (formação de células sanguíneas fora da medula óssea).

### **Por que está Reblozyl autorizado na UE?**

O tratamento com transfusões de sangue frequentes pode causar a acumulação de ferro no organismo, o que pode causar lesões nos órgãos. Reblozyl pode reduzir a necessidade de transfusões de sangue em doentes com síndromes mielodisplásicas ou com beta-talassemia, sendo os seus efeitos secundários considerados controláveis. Em doentes com beta-talassemia que não necessitam de transfusões regulares, espera-se que os níveis mais elevados de hemoglobina melhorem os resultados para os doentes. Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Reblozyl são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

### **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Reblozyl?**

A empresa que comercializa Reblozyl irá fornecer pacotes de informações aos médicos que prescrevam Reblozyl explicando que o medicamento pode ser nocivo para o feto e descrevendo de forma detalhada as medidas que deverão ser tomadas para que o medicamento seja utilizado de forma segura. Irá igualmente fornecer cartões às mulheres com potencial para engravidar com informação sobre as medidas de segurança que devem tomar para evitar uma gravidez.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Reblozyl.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Reblozyl são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Reblozyl são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

## **Outras informações sobre Reblozyl**

A 25 de junho de 2020, Reblozyl recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a UE.

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl)

Este resumo foi atualizado pela última vez em 03-2024.