



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/88452/2024

EMA/H/C/004444

Reblozyl (*luspatercept*)

Prezentare generală a Reblozyl și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Reblozyl și pentru ce se utilizează?

Reblozyl este un medicament utilizat pentru tratarea anemiei (număr mic de globule roșii) la adulți cu următoarele tulburări hematologice:

- sindroame mielodisplazice, o grupă de afecțiuni în care măduva produce prea puține celule sanguine. Reblozyl se utilizează la pacienții care au nevoie de transfuzii regulate de sânge și care prezintă risc foarte mic până la moderat ca afecțiunea lor să se transforme în leucemie mieloidă acută (un cancer de sânge);
- beta-talasemie, o afecțiune genetică în care pacienții nu produc suficientă betaglobină, o componentă a hemoglobinei (proteina din globulele roșii care transportă oxigenul în organism).

Aceste boli sunt rare, iar Reblozyl a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare). Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe site-ul Agenției Europene pentru Medicamente ([sindroame mielodisplazice](#): 22 august 2014; [beta-talasemie](#): 29 iulie 2014).

Medicamentul conține substanța activă luspatercept.

Cum se utilizează Reblozyl?

Reblozyl se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Tratamentul trebuie inițiat de un medic cu experiență în tratarea bolilor hematologice.

Medicamentul se administrează sub formă de injecție subcutanată în partea superioară a brațului, în coapsă sau în burtă. Doza recomandată depinde de greutatea pacientului și se ajustează în funcție de răspunsul pacientului la tratament. Tratamentul se administrează o dată la 3 săptămâni. Dacă pacientul are reacții adverse grave, tratamentul trebuie amânat până la ameliorarea lor.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Reblozyl, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Reblozyl?

Substanța activă din Reblozyl, luspaterceptul, reglează dezvoltarea globulelor roșii. Pentru aceasta, blochează o cale de semnalizare numită Smad2/3, care încetinește maturarea globulelor roșii și care

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



este hiperactivă la pacienții cu beta-talasemie și sindroame mielodisplazice. Blocarea Smad2/3 mărește producția de globule roșii și le permite să se dezvolte normal.

Ce beneficii a prezentat Reblozyl pe parcursul studiilor?

Sindroame mielodisplazice

Un studiu principal a cuprins 229 de adulți cu sindroame mielodisplazice care necesitau transfuzii regulate de sânge. Pacienții au primit fie Reblozyl, fie placebo (un preparat inactiv), pe lângă tratamentul standard obișnuit; 58 din 153 de pacienți (38 %) care au primit Reblozyl nu au avut nevoie de transfuzie de sânge cel puțin 8 săptămâni, față de 10 din 76 de pacienți (13 %) care au primit placebo.

În alt studiu principal, care a cuprins 363 de adulți cu sindroame mielodisplazice care necesitau transfuzii regulate de sânge, pacienților li s-a administrat Reblozyl sau epoetină alfa (alt medicament pentru anemie): 60 % (110 din 182) din pacienții cărora li s-a administrat Reblozyl nu au avut nevoie de transfuzie în sânge cel puțin 12 săptămâni și au prezentat o creștere a nivelurilor de hemoglobină de cel puțin 1,5 g/dl, față de 35 % (63 din 181) din pacienții cărora li s-a administrat epoetină alfa.

Beta-talasemie

Studiul principal a cuprins 336 de pacienți cu beta-talasemie care necesitau transfuzii regulate de sânge. Pacienții au primit fie Reblozyl, fie placebo, pe lângă tratamentul standard. Volumul de transfuzii de sânge s-a redus cu cel puțin o treime (33 %) la 47 din 224 de pacienți (21 %) care au luat Reblozyl, față de 5 din 112 pacienți (4,5 %) care au primit placebo.

Un al doilea studiu principal a cuprins pacienți cu beta-talasemie care nu necesitau transfuzii regulate de sânge. Pacienții au primit fie Reblozyl, fie placebo împreună cu tratamentul standard timp de cel puțin 48 de săptămâni. După 12 săptămâni, 74 din 96 de pacienți care au primit Reblozyl (77 %) au prezentat o creștere a nivelului de hemoglobină de cel puțin 1 g/dl, fără a fi necesare transfuzii, în comparație cu niciunul din cei 49 de pacienți care au primit placebo.

Care sunt riscurile asociate cu Reblozyl?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Reblozyl, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Reblozyl la pacienții cu sindroame mielodisplazice (care pot afecta mai mult de 15 persoane din 100) sunt oboseală, diaree, greață, slăbiciune, amețeli, edem periferic (umflare cauzată de retenția de lichide, în special la glezne și picioare) și dureri de spate. Cele mai frecvente reacții adverse grave sunt infecții ale tractului urinar (infectarea structurilor care transportă urina), dispnee și dureri de spate.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Reblozyl la pacienții cu beta-talasemie care necesitau transfuzii (care pot afecta mai mult de 15 persoane din 100) sunt dureri de cap, dureri de oase și de articulații. Cele mai frecvente reacții adverse grave sunt reacții cauzate de cheaguri de sânge în vene, cum ar fi tromboză venoasă profundă, tromboza venei porte (cheaguri de sânge în venele care alimentează ficatul), accident vascular cerebral ischemic (o întrerupere bruscă a fluxului sanguin la nivelul creierului, cauzată de un blocaj în fluxul sanguin) și embolie pulmonară (cheaguri de sânge în venele care alimentează plămânii).

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Reblozyl la pacienții cu beta-talasemie care nu necesitau transfuzii regulate (care pot afecta mai mult de 15 persoane din 100) sunt dureri de oase, de spate și de articulații, dureri de cap și prehipertensiune (tensiune arterială mare normală) și hipertensiune (tensiune arterială mare). Cele mai frecvente reacții adverse grave sunt fractura traumatică (fractură

cauzată, de exemplu, de o cădere sau un accident) și comprimarea măduvei spinării din cauza hematopoeziei extramedulare (dezvoltarea de celule sanguine în exteriorul măduvei).

Reblozyl este contraindicat în sarcină. Femeile care pot rămâne gravide trebuie să folosească metode contraceptive eficiente în timpul tratamentului și cel puțin 3 luni după ultima doză de Reblozyl. Reblozyl este contraindicat la pacienți care necesită tratament pentru controlul creșterii maselor hematopoitice extramedulare (formarea de celule sanguine în exteriorul măduvei).

De ce a fost autorizat Reblozyl în UE?

Tratamentul cu transfuzii de sânge regulate poate duce la acumularea de fier în organism, ceea ce poate afecta organele. Reblozyl poate reduce necesitatea transfuziilor de sânge la pacienți cu sindroame mielodisplazice sau beta-talasemie, iar reacțiile adverse sunt considerate gestionabile terapeutic. La pacienții cu beta-talasemie care nu necesită transfuzii regulate, se preconizează că valorile mai mari de hemoglobină vor îmbunătăți rezultatele pacienților. Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Reblozyl sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Reblozyl?

Compania care comercializează Reblozyl va furniza personalului medical care prescrie medicamentul seturi educaționale în care explică faptul că medicamentul poate fi dăunător pentru făt și detaliază măsurile care trebuie luate pentru ca medicamentul să fie utilizat în siguranță. De asemenea, va furniza femeilor care pot rămâne gravide carduri cu măsurile pe care trebuie să le ia pentru a evita sarcina.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Reblozyl, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Reblozyl sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate pentru Reblozyl sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Reblozyl

Reblozyl a primit autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 25 iunie 2020.

Mai multe informații despre Reblozyl se pot găsi pe site-ul agenției:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 03-2024.