



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/88452/2024

EMA/H/C/004444

Reblozyl (luspatercept)

Prehľad o lieku Reblozyl a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Reblozyl a na čo sa používa?

Reblozyl je liek, ktorý sa používa na liečbu anémie (nízkej hladiny červených krviniek) u dospelých s týmito poruchami krvi:

- myelodysplastické syndrómy, čo je skupina ochorení, pri ktorých sa v kostnej dreni tvorí príliš málo krviniek. Liek Reblozyl sa používa u pacientov, ktorí potrebujú pravidelné krvné transfúzie a u ktorých existuje veľmi nízke až stredné riziko, že sa u nich rozvinie akútna myeloidná leukémia (rakovina krvi);
- beta-talasémia, genetické ochorenie, pri ktorom pacienti nedokážu vytvárať dostatočné množstvo beta-globínu, zložky hemoglobínu (proteínu v červených krvinkách, ktorý prenáša v tele kyslík).

Tieto ochorenia sú zriedkavé, a preto bol liek Reblozyl označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na webovej stránke Európskej agentúry pre lieky ([myelodysplastické syndrómy](#): 22. august 2014; [beta-talasémia](#): 29. júl 2014).

Liek obsahuje liečivo luspatercept.

Ako sa liek Reblozyl používa?

Výdaj lieku Reblozyl je viazaný na lekársky predpis. Liečbu má začať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou krvných ochorení.

Liek sa podáva ako injekcia pod kožu v oblasti nadlaktia, stehna alebo brucha. Odporúčaná dávka závisí od telesnej hmotnosti pacienta a upravuje sa v závislosti od odpovede pacienta na liečbu. Liečba sa podáva raz za tri týždne. Ak sa u pacienta objavia závažné vedľajšie účinky, liečba sa má odložiť, kým sa vedľajšie účinky nezlepšia.

Viac informácií o používaní lieku Reblozyl si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Reblozyl účinkuje?

Liečivo lieku Reblozyl, luspatercept, reguluje vývoj červených krviniek. Dosahuje to tak, že blokuje signálnu dráhu nazývanú Smad2/3, ktorá spomaľuje dozrievanie červených krviniek a je nadmerne

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



aktívna u pacientov s beta-talasémiou a myelodysplastickými syndrómami. Blokovanie Smad2/3 sa zvyšuje tvorba červených krviniek a umožňuje sa ich normálny vývoj.

Aké prínosy lieku Reblozyl boli preukázané v štúdiách?

Myelodysplastické syndrómy

Na hlavnej štúdii sa zúčastnilo 229 dospelých s myelodysplastickými syndrómami, ktoré si vyžadovali pravidelné krvné transfúzie. Okrem bežnej štandardnej starostlivosti dostávali pacienti buď liek Reblozyl, alebo placebo (zdanlivý liek). 58 zo 153 pacientov (38 %), ktorým sa podával liek Reblozyl, nepotrebovalo krvnú transfúziu počas najmenej 8 týždňov v porovnaní s 10 pacientmi zo 76 (13 %), ktorí dostávali placebo.

V ďalšej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 363 dospelých s myelodysplastickými syndrómami vyžadujúcimi pravidelné krvné transfúzie, sa pacientom podával liek Reblozyl alebo epoetín alfa (ďalší liek na anémiu): 60 % (110 zo 182) pacientov, ktorým bol podávaný liek Reblozyl, nepotrebovalo krvnú transfúziu počas najmenej 12 týždňov a ich hladina hemoglobínu sa zvýšila aspoň o 1,5 g/dl v porovnaní s 35 % (63 zo 181) pacientov, ktorí dostávali epoetín alfa.

Beta-talasémia

Na jednej hlavnej štúdii sa zúčastnilo 336 pacientov s beta-talasémiou, ktorá si vyžadovala pravidelné krvné transfúzie. Okrem štandardnej liečby dostávali pacienti buď liek Reblozyl alebo placebo. Podávanie krvných transfúzií sa znížilo aspoň o tretinu (33 %) v prípade 47 z 224 pacientov (21 %), ktorí boli liečení liekom Reblozyl, v porovnaní s 5 pacientmi zo 112 (4,5 %), ktorí dostávali placebo.

Na druhej hlavnej štúdii sa zúčastnili pacienti s beta-talasémiou, ktorá si nevyžadovala pravidelné krvné transfúzie. Pacienti dostávali počas 48 týždňov buď liek Reblozyl, alebo placebo spolu so štandardnou liečbou. Po 12 týždňoch došlo u 74 z 96 (77 %) pacientov liečených liekom Reblozyl k zvýšeniu hladiny hemoglobínu aspoň o 1 g/dl bez toho, aby bola potrebná transfúzia, zatiaľ čo u pacientov, ktorí dostávali placebo, sa tento výsledok nedosiahol u žiadneho zo 49 pacientov.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Reblozyl?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Reblozyl a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Reblozyl u pacientov s myelodysplastickými syndrómami (ktoré môžu postihnúť viac ako 15 osôb zo 100) sú únava, hnačka, nauzea (pocit nevoľnosti), slabosť, závrat, periférny edém (opuch v dôsledku zadržiavania tekutín, najmä členkov a chodidiel) a bolesť chrbta. Najčastejšie závažné vedľajšie účinky sú infekcia močových ciest (infekcia štruktúr, cez ktoré prechádza moč), dýchavičnosť a bolesť chrbta.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Reblozyl u pacientov s beta-talasémiou, ktorá si vyžaduje transfúziu (ktoré môžu postihnúť viac ako 15 osôb zo 100), sú bolesť hlavy, kostí a kĺbov. Najčastejšie závažné vedľajšie účinky sú účinky v dôsledku krvných zrazenín v žilách, ako sú hlboká žilová trombóza, trombóza portálnej žily (zrazeniny v žilách zásobujúcich pečeň), ischemická mozgová príhoda (náhle prerušenie prietoku krvi v mozgu zapríčinené zablokovaním zásobovania krvou) a pľúcna embólia (zrazeniny v žilách zásobujúcich pľúca).

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Reblozyl u pacientov s beta-talasémiou, ktorá si nevyžaduje pravidelnú transfúziu (ktorá môže postihnúť viac ako 15 osôb zo 100), sú bolesť kostí, chrbta a kĺbov, bolesť hlavy a predhypertenzia (vysoký normálny krvný tlak) a hypertenzia (vysoký krvný tlak). Najčastejšie závažné vedľajšie účinky sú traumatická zlomenina (zlomenina spôsobená napríklad

pádom alebo nehodou) a kompresia miechy v dôsledku extramedulárnej hematopoézy (vývinu krviniek mimo kostnej drene).

Liek Reblozyl sa nesmie podávať počas tehotenstva. Ženy, ktoré môžu otehotnieť, musia počas liečby a aspoň 3 mesiace po poslednej dávke lieku Reblozyl používať účinnú antikoncepciu. Pacienti, v prípade ktorých sa vyžaduje liečba na kontrolu rastu extramedulárnej hemopoetickej masy (tvorby krviniek mimo kostnej drene), nesmú používať liek Reblozyl.

Prečo bol liek Reblozyl povolený v EÚ?

Liečba častými krvnými transfúziami môže viesť k hromadeniu železa v tele, ktoré môže poškodiť orgány. Liek Reblozyl môže znížiť potrebu krvných transfúzií u pacientov s myelodysplastickými syndrómami alebo s beta-talasémiou, pričom jeho vedľajšie účinky sa považujú za zvládnuteľné. U pacientov s beta-talasémiou bez potreby pravidelných transfúzií sa predpokladá, že k lepším výsledkom u pacientov prispieva vyššia hladina hemoglobínu. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Reblozyl sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Reblozyl?

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Reblozyl na trh, poskytne vzdelávacie balíky lekárom predpisujúcim liek Reblozyl s vysvetlením, že liek môže byť škodlivý pre nenarodené dieťa, ako aj s podrobným opisom krokov, ktoré je potrebné podniknúť na bezpečné používanie lieku. Takisto ženám, ktoré môžu otehotnieť, poskytne karty o opatreniach na predchádzanie otehotneniu.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Reblozyl boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Reblozyl sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Reblozyl sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Reblozyl

Liek Reblozyl bolo 25. júna 2020 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Reblozyl sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

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

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 03-2024