EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Reblozyl (*luspatercept*)

Pregled zdravila Reblozyl in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Reblozyl in za kaj se uporablja?

Reblozyl je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje anemije (nizkih ravni rdečih krvnih celic) pri odraslih z naslednjimi krvnimi boleznimi:

- mielodisplastičnimi sindromi, tj. skupino obolenj, pri katerih kostni mozeg ne proizvaja dovolj velikega števila krvnih celic. Zdravilo Reblozyl se uporablja pri bolnikih, ki potrebujejo redno transfuzijo krvi in pri katerih obstaja zelo majhno do zmerno tveganje za razvoj bolezni v akutno mieloično levkemijo (krvni rak);
- beta-talasemijo, tj. genetsko boleznijo, pri kateri bolniki ne morejo proizvajati dovolj globina beta, ki je sestavina hemoglobina (beljakovine v rdečih krvnih celicah, ki prenaša kisik po telesu).

Ti bolezni sta redki, zato je bilo zdravilo Reblozyl določeno kot „zdravilo sirota" (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete na spletni strani Evropske agencije za zdravila (mielodisplastični sindromi: 22. avgusta 2014; beta-talasemija: 29. julija 2014).

Zdravilo vsebuje učinkovino luspatercept.

Kako se zdravilo Reblozyl uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Reblozyl je le na recept. Zdravljenje lahko uvede zdravnik z izkušnjami z zdravljenjem krvnih bolezni.

Zdravilo se daje z injiciranjem v podkožje nadlakti, stegna ali trebuha. Priporočeni odmerek je odvisen od telesne mase bolnika in se prilagaja glede na njegov odziv na zdravljenje. Zdravilo se daje vsake tri tedne. Če se pri bolniku pojavijo resni neželeni učinki, je treba zdravljenje odložiti, dokler neželeni učinki ne izginejo.

Za več informacij glede uporabe zdravila Reblozyl glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Reblozyl deluje?

Učinkovina v zdravilu Reblozyl, luspatercept, uravnava razvoj rdečih krvnih celic. To doseže tako, da zavira signalno pot, imenovano Smad2/3, ki upočasni dozorevanje rdečih krvnih celic ter je čezmerno

© European Medicines Agency, 2024. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

aktivna pri bolnikih z beta-talasemijo in mielodisplastičnimi sindromi. Z zaviranjem signalne poti Smad2/3 se poveča nastajanje rdečih krvnih celic, kar jim omogoča njihovo normalno rast.

Kakšne koristi zdravila Reblozyl so se pokazale v študijah?

Mielodisplastični sindromi

V glavno študijo je bilo vključenih 229 odraslih z mielodisplastičnimi sindromi, ki so potrebovali redne transfuzije krvi. Bolniki so poleg običajnega standardnega zdravljenja prejemali zdravilo Reblozyl ali placebo (zdravilo brez učinkovine); 58 od 153 (38 %) bolnikov, ki so jemali zdravilo Reblozyl, vsaj 8 tednov ni potrebovalo transfuzije krvi v primerjavi z 10 od 76 (13 %) bolnikov, ki so prejemali placebo.

V drugi glavni študiji, ki je vključevala 363 odraslih z mielodisplastičnimi sindromi, ki so potrebovali redne transfuzije krvi, so bolniki prejemali zdravilo Reblozyl ali epoetin alfa (drugo zdravilo za zdravljenje anemije): 60 % (110 od 182) bolnikov, ki so prejemali zdravilo Reblozyl, vsaj 12 tednov ni potrebovalo transfuzije krvi, njihova raven hemoglobina pa se je zvišala za vsaj 1,5 g/dl v primerjavi s 35 % (63 od 181) bolnikov, ki so prejemali epoetin alfa.

Beta-talasemija

V glavno študijo je bilo vključenih 336 bolnikov z beta-talasemijo, ki so potrebovali redne transfuzije krvi. Bolniki so poleg standardnega zdravljenja prejemali zdravilo Reblozyl ali placebo. Transfuzije krvi so se zmanjšale za vsaj tretjino (33 %) pri 47 od 224 bolnikov (21 %), ki so jemali zdravilo Reblozyl, in pri 5 od 112 (4,5 %) bolnikov, ki so prejemali placebo.

V drugo glavno študijo so bili vključeni bolniki z beta-talasemijo, ki niso potrebovali rednih transfuzij krvi. Bolniki so vsaj 48 tednov skupaj s standardnim zdravljenjem prejemali bodisi zdravilo Reblozyl bodisi placebo. Po 12 tednih se je pri 74 od 96 bolnikov, ki so prejemali zdravilo Reblozyl (77 %), raven hemoglobina zvišala za vsaj 1 g/dl, ne da bi potrebovali transfuzije, v primerjavi z nobenim od 49 bolnikov, ki so prejemali placebo.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Reblozyl?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Reblozyl glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Reblozyl pri bolnikih z mielodisplastičnimi sindromi (ki se lahko pojavijo pri več kot 15 od 100 bolnikov) vključujejo utrujenost, drisko, navzejo (siljenje na bruhanje), oslabelost, omotico, periferni edem (otekanje zaradi zadrževanja tekočine, zlasti gležnjev in nog) in bolečine v hrbtu. Najpogostejši resni neželeni učinki vključujejo okužbo sečil (okužba struktur, ki prenašajo urin), dispnejo in bolečine v hrbtu.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Reblozyl pri bolnikih z beta-talasemijo (ki se lahko pojavijo pri več kot 15 od 100 bolnikov) vključujejo glavobol ter bolečine v kosteh in sklepih. Najpogostejši resni neželeni učinki vključujejo učinke zaradi krvnih strdkov v venah, kot so globoka venska tromboza, portalna venska tromboza (strdki v venah, ki oskrbujejo jetra), ishemično možgansko kap (nenadna prekinitev pretoka krvi v možganih, ki jo povzroča zamašitev oskrbe s krvjo) in pljučno embolijo (strdki v venah, ki oskrbujejo pljuča).

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Reblozyl pri bolnikih z beta-talasemijo, ki ne potrebujejo redne transfuzije (ki se lahko pojavijo pri več kot 15 od 100 bolnikov), vključujejo bolečine v kosteh, hrbtu in sklepih, glavobol ter predhipertenzijo (visok normalni krvni tlak) in hipertenzijo (visok krvni tlak). Najpogostejši resni neželeni učinki so travmatski zlom (zlom, ki ga na primer povzroči padec ali

nesreča) in stiskanje hrbtenjače zaradi ekstramedularne hematopoeze (razvoj krvnih celic zunaj kostnega mozga).

Zdravilo Reblozyl se ne sme dajati med nosečnostjo. Ženske, ki lahko zanosijo, morajo med zdravljenjem in vsaj 3 mesece po zadnjem odmerku zdravila Reblozyl uporabljati učinkovito kontracepcijo. Bolniki, ki potrebujejo zdravljenje za nadzor rasti ekstramedularnih hematopoetičnih formacij (nastajanja krvnih celic zunaj kostnega mozga), zdravila Reblozyl ne smejo uporabljati.

Zakaj je bilo zdravilo Reblozyl odobreno v EU?

Zdravljenje s pogostimi transfuzijami krvi lahko privede do kopičenja železa v krvi, kar lahko poškoduje organe. Zdravilo Reblozyl pri bolnikih z mielodisplastičnimi sindromi ali beta-talasemijo lahko zmanjša potrebo po transfuzijah krvi, pri čemer so njegovi neželeni učinki obvladljivi. Pri bolnikih z beta-talasemijo, ki ne potrebujejo rednih transfuzij krvi, se pričakuje, da bodo višje ravni hemoglobina izboljšale izide pri bolnikih. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Reblozyl večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Reblozyl?

Podjetje, ki trži zdravilo Reblozyl, bo zdravnikom, ki ga predpisujejo, priskrbelo izobraževalno gradivo, v katerem bo razloženo, da je zdravilo lahko škodljivo za nerojene otroke, in ki bo vsebovalo podrobnosti o njegovi varni uporabi. Prav tako bo pripravilo kartice za ženske v rodni dobi glede ukrepov, ki jih morajo upoštevati za preprečitev nosečnosti.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Reblozyl upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Reblozyl stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Reblozyl, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Reblozyl

Za zdravilo Reblozyl je bilo 25. junija 2020 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Reblozyl so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 03–2024.