



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/88452/2024

EMA/H/C/004444

Reblozyl (*luspatercept*)

Sammanfattning av Reblozyl och varför det är godkänt inom EU

Vad är Reblozyl och vad används det för?

Reblozyl är ett läkemedel som används för att behandla anemi (låga nivåer av röda blodkroppar) hos vuxna med följande blodsjukdomar:

- Myelodysplastiska syndrom, en grupp sjukdomar där benmärgen producerar för få blodkroppar. Reblozyl ges till patienter som behöver regelbundna blodtransfusioner och som löper mycket låg till måttlig risk för att sjukdomen ska utvecklas till akut myeloisk leukemi (en typ av blodcancer).
- Beta-talassemi, ett genetiskt tillstånd där patienten inte kan producera tillräckligt mycket betaglobin, en komponent i hemoglobinet (det protein i de röda blodkropparna som transporterar syre i kroppen).

Dessa sjukdomar är sällsynta och Reblozyl klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar). Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på EMA:s webbplats ([myelodysplastiskt syndrom](#): 22 augusti 2014, [beta-talassemi](#): 29 juli 2014).

Läkemedlet innehåller den aktiva substansen luspatercept.

Hur används Reblozyl?

Reblozyl är receptbelagt. Behandlingen ska inledas av en läkare med erfarenhet av att behandla blodsjukdomar.

Läkemedlet ges som en injektion under huden i överarmen, låret eller buken. Den rekommenderade dosen beror på patientens vikt och justeras baserat på patientens svar. Behandlingen ges en gång var tredje vecka. Om patienten får allvarliga biverkningar bör behandlingen skjutas upp tills biverkningarna har förbättrats.

För mer information om hur du använder Reblozyl, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Reblozyl?

Den aktiva substansen i Reblozyl, luspatercept, reglerar mognaden av röda blodkroppar. Den gör detta genom att blockera signalvägen Smad2/3 som saktar ner mognaden av röda blodkroppar och är

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



överaktiv hos patienter med beta-talassemi och myelodysplastiskt syndrom. Blockeringen av Smad2/3 leder till ökad produktion av röda blodkroppar, som därmed kan utvecklas normalt.

Vilka fördelar med Reblozyl har visats i studierna?

Myelodysplastiskt syndrom

Huvudstudien genomfördes på 229 vuxna patienter med myelodysplastiskt syndrom som krävde regelbundna blodtransfusioner. Patienterna fick antingen Reblozyl eller placebo (överksam behandling) som tillägg till normal standardbehandling. Av 153 patienter som fick Reblozyl behövde 58 (38 procent) ingen blodtransfusion under minst 8 veckor, jämfört med 10 av 76 patienter (13 procent) som fick placebo.

I en annan huvudstudie, som omfattade 363 vuxna med myelodysplastiska syndrom som krävde regelbundna blodtransfusioner, fick patienterna Reblozyl eller epoetin alfa (ett annat läkemedel mot anemi): Av patienterna som fick Reblozyl behövde 60 procent (110 av 182) ingen blodtransfusion under minst 12 veckor och hade en ökning av sina hemoglobinnivåer på minst 1,5 g/dl, jämfört med 35 procent (63 av 181) av patienterna som fick epoetin alfa.

Beta-talassemi

I en huvudstudie ingick 336 patienter med beta-talassemi som krävde regelbundna blodtransfusioner. Patienterna fick antingen Reblozyl eller placebo som tillägg till standardbehandling. Blodtransfusionerna minskade med minst en tredjedel (33 procent) hos 47 av 224 patienter (21 procent) som fick Reblozyl, jämfört med 5 av 112 (4,5 procent) patienter som fick placebo.

I en andra huvudstudie ingick patienter med beta-talassemi som inte krävde regelbundna blodtransfusioner. Patienterna fick antingen Reblozyl eller placebo tillsammans med standardbehandling i minst 48 veckor. Efter 12 veckor hade 74 av 96 patienter som fick Reblozyl (77 procent) en ökning på minst 1 g/dl i sitt hemoglobin utan att behöva transfusioner, jämfört med ingen av de 49 patienter som fick placebo.

Vilka är riskerna med Reblozyl?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Reblozyl finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Reblozyl hos patienter med myelodysplastiska syndrom (kan förekomma hos fler än 15 av 100 användare) är trötthet, diarré, illamående, svaghet, yrsel, perifert ödem (svullnad till följd av vätskeansamling, särskilt i vrister och fötter) och ryggsmärta. De vanligaste allvarliga biverkningarna är urinvägsinfektion, dyspné och ryggsmärta.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Reblozyl hos patienter med beta-talassemi som kräver transfusion (kan förekomma hos fler än 15 av 100 användare) är huvudvärk samt skelett- och ledsmärta. De vanligaste allvarliga biverkningarna omfattar biverkningar till följd av blodproppar i venerna, t.ex. djup ventrombos, portalventrombos (proppar i venerna som försörjer levern), ischemisk stroke (plötsligt avbrott i blodflödet i hjärnan till följd av blockering av blodtillförseln) och lungemboli (blodproppar i venerna som försörjer lungorna).

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Reblozyl hos patienter med beta-talassemi som inte kräver regelbunden transfusion (kan förekomma hos fler än 15 av 100 användare) är smärta i skelett, rygg och leder, huvudvärk och prehypertoni (högt normalt blodtryck) och hypertoni (högt blodtryck). De vanligaste allvarliga biverkningarna är traumatisk fraktur (en fraktur som t.ex. orsakas av ett fall eller en olycka) och kompression av ryggmärgen på grund av extramedullär hemopoes (bildning av blodkroppar utanför benmärgen).

Reblozyl får inte ges under graviditet. Kvinnor som kan bli gravida måste använda effektiva preventivmedel under behandlingen och i minst 3 månader efter den sista dosen av Reblozyl. Patienter som behöver behandling för att kontrollera tillväxten av extramedullär hematopoes får inte använda Reblozyl.

Varför är Reblozyl godkänt i EU?

Behandling med täta blodtransfusioner kan leda till ansamling av järn i kroppen, vilket kan skada organen. Reblozyl kan minska behovet av blodtransfusioner hos patienter med myelodysplastiska syndrom eller beta-talassemi, och biverkningarna anses vara hanterbara. Hos patienter med beta-talassemi som inte kräver regelbundna transfusioner förväntas högre hemoglobinnivåer förbättra utfallen för patienterna. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Reblozyl är större än riskerna och att Reblozyl kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Reblozyl?

Företaget som marknadsför Reblozyl kommer att tillhandahålla utbildningsmaterial till läkare som förskriver Reblozyl. I materialet finns information om att läkemedlet kan vara skadligt för foster och om de åtgärder som måste vidtas för att läkemedlet ska vara säkert att använda. Företaget kommer även att tillhandahålla patientkort till kvinnor som kan bli gravida om de säkerhetsåtgärder som de bör vidta för att undvika graviditet.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Reblozyl har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Reblozyl kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Reblozyl utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Reblozyl

Den 25 juni 2020 beviljades Reblozyl ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Reblozyl finns på EMA:s webbplats:

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

Denna sammanfattning uppdaterades senast 03-2024.