



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/82718/2025
EMA/H/C/006105

Rytelo (*imetelstat*)

Sammanfattning av Rytelo och varför det är godkänt inom EU

Vad är Rytelo och vad används det för?

Rytelo är ett läkemedel som används för att behandla anemi (låga nivåer av röda blodkroppar) hos vuxna med myelodysplastiska syndrom, en grupp sjukdomar där benmärgen producerar onormala och alltför få friska blodkroppar.

Rytelo ges till patienter vars tillstånd inte har en isolerad cytogenetisk avvikelse av typen 5q-deletion, där patienten behöver regelbundna blodtransfusioner och där risken för att tillståndet utvecklas till akut myeloisk leukemi (en blodcancer) bedöms vara från mycket liten till måttlig. Det ges till patienter hos vilka erythropoetin (ett hormon som stimulerar produktionen av röda blodkroppar) inte fungerar tillräckligt väl eller till patienter som inte kan behandlas med erythropoetin.

Myelodysplastiska syndrom är sällsynta och Rytelo klassificerades som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 27 juli 2020. Mer information om klassificeringen som särlekemedel finns på EMA:s [webbplats](#).

Rytelo innehåller den aktiva substansen imetelstat.

Hur används Rytelo?

Rytelo ges en gång var fjärde vecka genom infusion (dropp) i en ven, vanligtvis under en period på cirka två timmar. Den rekommenderade dosen varierar beroende på patientens vikt och kan justeras om patienten får biverkningar. Minst 30 minuter före varje infusion ska patienterna ges läkemedel för att förebygga eller minska eventuella biverkningar av infusionen.

En fullständig blodkroppsräkning och ett leverfunktionstest ska göras före varje dos. Efter de första två doserna rekommenderas att blodvärdena kontrolleras varje vecka (blodkroppsräkning). Innan behandlingen sätts in bör kvinnor som kan få barn göra ett graviditetstest.

Behandlingen ska avbrytas om behovet av blodtransfusioner inte minskat efter 24 veckors behandling (sex doser) eller om biverkningarna blivit oacceptabla.

Rytelo är receptbelagt. Behandlingen ska ges och övervakas av hälso- och sjukvårdspersonal med erfarenhet av behandling av blodsjukdomar.



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

Hur verkar Rytelo?

Den aktiva substansen i Rytelo, imetelstat, blockerar aktiviteten hos enzymet telomeras, som underlättar cellernas tillväxt och delning. Genom att blockera telomeras minskar läkemedlet tillväxten av onormala blodkroppar och bidrar till att de dör.

Vilka fördelar med Rytelo har visats i studierna?

I en huvudstudie ingick 178 vuxna med myelodysplastiska syndrom som krävde regelbundna blodtransfusioner. Patienterna fick antingen Rytelo eller placebo (overksam behandling) som tillägg till understödjande vård.

Studien visade att 36 av de 118 patienter (30,5 procent) som fick Rytelo inte behövde någon blodtransfusion under minst 8 veckor, jämfört med 6 av de 60 patienter (10 procent) som fick placebo.

Vilka är riskerna med Rytelo?

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

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Rytelo (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är trombocytopeni (låga nivåer av blodplättar, komponenter som hjälper blodet att koagulera), neutropeni (låga nivåer av neutrofiler, en typ av vita blodkroppar som bekämpar infektioner), förhöjda nivåer av leverenzymmer (ett tecken på möjliga leverproblem), trötthet och huvudvärk.

Vissa biverkningar kan vara allvarliga. De vanligaste allvarliga biverkningarna (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är sepsis (när bakterier och deras toxiner cirkulerar i blodet och leder till organskador), urinvägsinfektion (infektion i de delar av kroppen som samlar och utsöndrar urin), förmaksflimmer (oregelbundna och okoordinerade sammandragningar i hjärtats övre kammare), blödning från esofagusvaricer (blödning från dilaterade vener i samband med åderbräck i de ytliga kärlen i matstrupen), synkope (svimning) och trombocytopeni.

Varför är Rytelo godkänt i EU?

Behandling med täta blodtransfusioner kan leda till ansamling av järn i kroppen, vilket kan skada organen. Rytelo kan minska behovet av blodtransfusioner hos patienter med myelodysplastiska syndrom, och dess biverkningar anses vara hanterbara om särskilda åtgärder vidtas, såsom blodkroppspräkning och övervakning av leverfunktionen.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Rytelo är större än riskerna och att Rytelo kan godkännas för försäljning i EU.

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

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

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

Mer information om Rytelo

Mer information om Rytelo finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/rytelo.