



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

**EMA/88452/2024**

EMA/H/C/004444

## Reblozyl (*luspatercept*)

En oversigt over Reblozyl, og hvorfor det er godkendt i EU

### Hvad er Reblozyl, og hvad anvendes det til?

Reblozyl er et lægemiddel til behandling for anæmi (lavt antal røde blodlegemer) hos voksne med følgende blodsygdomme:

- myelodysplastiske syndromer, som er en gruppe tilstande, hvor knoglemarven producerer for få blodlegemer. Reblozyl anvendes hos patienter, der har behov for regelmæssige blodtransfusioner, og som har en meget lav til moderat risiko for, at deres sygdom udvikler sig til akut myeloid leukæmi (blodkræft)
- Beta-talassæmi er en genetisk sygdom, hvor patienten ikke danner nok betaglobin, som er en bestanddel i hæmoglobin (proteinet i de røde blodlegemer, der transporterer ilt rundt i kroppen).

Disse sygdomme er sjældne, og Reblozyl er blevet udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme". Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes på Det Europæiske Lægemiddelagenturs websted ([myelodysplastiske syndromer](#): 22. august 2014, [beta-talassæmi](#): 29. juli 2014).

Lægemidlet indeholder det aktive stof luspatercept.

### Hvordan anvendes Reblozyl?

Reblozyl fås kun på recept. Behandlingen bør indledes af en læge med erfaring i behandling af blodsygdomme.

Lægemidlet gives som en injektion under huden i overarmen, låret eller maven. Den anbefalede dosis afhænger af patientens vægt og tilpasses afhængig af patientens respons. Behandlingen gives én gang hver 3. uge. Hvis patienten udvikler alvorlige bivirkninger, bør behandlingen udskydes, til bivirkningerne er aftaget.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Reblozyl, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

### Hvordan virker Reblozyl?

Det aktive stof i Reblozyl, luspatercept, regulerer dannelsen af røde blodlegemer. Dette sker ved blokering af en signaleringsvej kaldet Smad2/3, som sinker modningen af røde blodlegemer og er

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



overaktiv hos patienter med beta-talassæmi og myelodysplastiske syndromer. Når Smad2/3 blokeres, øges dannelsen af røde blodlegemer, og disse kan udvikle sig normalt.

## Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Reblozyl?

### Myelodysplastiske syndromer

Et hovedstudie omfattede 229 voksne med myelodysplastiske syndromer, der kræver regelmæssige blodtransfusioner. Patienterne fik enten Reblozyl eller placebo (en uvirksom behandling) i tillæg til normal standardbehandling. 58 ud af 153 patienter (38 %), der fik Reblozyl, havde ikke behov for en blodtransfusion i mindst 8 uger sammenlignet med 10 ud af 76 (13 %) af de patienter, der fik placebo.

I et andet hovedstudie, der omfattede 363 voksne med myelodysplastiske syndromer, der krævede regelmæssige blodtransfusioner, fik patienterne Reblozyl eller epoetin alfa (et andet lægemiddel mod anæmi): 60 % (110 ud af 182) af de patienter, der fik Reblozyl, havde ikke brug for en blodtransfusion i mindst 12 uger og oplevede en stigning i deres hæmoglobinniveau på mindst 1,5 g/dl, sammenlignet med 35 % (63 ud af 181) af de patienter, der fik epoetin alfa.

### Beta-talassæmi

Et hovedstudie omfattede 336 patienter med beta-talassæmi, som krævede regelmæssige blodtransfusioner. Patienterne fik enten Reblozyl eller placebo i tillæg til standardbehandling. Blodtransfusioner faldt med mindst en tredjedel (33 %) hos 47 ud af 224 patienter (21 %), der fik Reblozyl, sammenlignet med 5 ud af de 112 patienter (4,5 %), der fik placebo.

Et andet hovedstudie omfattede patienter med beta-thalassæmi, der ikke kræver regelmæssige blodtransfusioner. Patienterne fik enten Reblozyl eller placebo sammen med standardbehandling i mindst 48 uger. Efter 12 uger oplevede 74 ud af 96 af de patienter, der fik Reblozyl (77 %), en stigning på mindst 1 g/dl i deres hæmoglobinniveau uden behov for transfusioner sammenlignet med ingen af de 49 patienter, der fik placebo.

## Hvilke risici er der forbundet med Reblozyl?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Reblozyl fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Reblozyl hos patienter med myelodysplastiske syndromer (som kan forekomme hos mere end 15 ud af 100 personer) omfatter træthed, diarré, kvalme, svækkelse, svimmelhed, perifert ødem (hævelse på grund af væskeophobning, især i ankler og fødder) og rygsmerter. De mest almindelige alvorlige bivirkninger er urinvejsinfektion, dyspnø og rygsmerter.

De mest almindelige bivirkninger ved Reblozyl (som kan forekomme hos mere end 15 ud af 100 personer) hos patienter med beta-talassæmi, der kræver transfusion, er hovedpine og knogle- og ledsmerter. De mest almindelige alvorlige bivirkninger er bivirkninger som følge af blodpropper i venerne såsom dyb venetrombose, portal venetrombose (blodpropper i de vener, der forsyner leveren), iskæmisk slagtilfælde (en pludselig afbrydelse af blodgennemstrømningen i hjernen, som skyldes blokering af blodforsyningen) og lungeemboli (blodpropper i de vener, der forsyner lungerne).

De mest almindelige bivirkninger ved Reblozyl (som kan forekomme hos mere end 15 ud af 100 personer) hos patienter med beta-thalassæmi, der ikke kræver regelmæssig transfusion, er knogle-, ryg- og ledsmerter, hovedpine og prehypertension (højt normalt blodtryk) og hypertension (forhøjet blodtryk). De mest almindelige alvorlige bivirkninger er traumatisk fraktur (en fraktur, der f.eks. skyldes et fald eller en ulykke) og kompression af rygmarven som følge af ekstramedullær hæmopoiese (dannelse af blodceller uden for knoglemarven).

Reblozyl må ikke gives under graviditet. Kvinder, som kan blive gravide, skal anvende sikker prævention under behandlingen og i mindst tre måneder efter den sidste dosis af Reblozyl. Patienter, der har behov for behandling for at kontrollere væksten af ekstramedullær hæmopoietisk masse (dannelse af blodceller uden for knoglemarven), må ikke anvende Reblozyl.

## **Hvorfor er Reblozyl godkendt i EU?**

Behandling med hyppige blodtransfusioner kan medføre ophobning af jern i kroppen, hvilket kan beskadige organerne. Reblozyl kan mindske behovet for blodtransfusioner hos patienter med myelodysplastiske syndromer eller med beta-thalassaemi, og bivirkningerne heraf anses for at kunne håndteres. Hos patienter med beta-thalassaemi, som ikke kræver regelmæssige transfusioner, forventes højere hæmoglobinniveauer at forbedre udfaldet for patienterne. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Reblozyl opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

## **Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Reblozyl anvendes sikkert og effektivt?**

Virksomheden, der fremstiller Reblozyl, udleverer oplysningsmateriale til læger, som ordinerer Reblozyl, indeholdende forklaring om, at lægemidlet kan være skadeligt for det ufødte barn, og med udførligt beskrivelse af de nødvendige skridt, der skal tages, for at lægemidlet kan anvendes sikkert. Virksomheden sørger desuden for, at der udleveres kort til kvinder, som kan blive gravide, om hvilke foranstaltninger de bør træffe for at undgå graviditet.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Reblozyl anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Reblozyl løbende overvåget. De indberettede bivirkninger ved Reblozyl vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

## **Øvrig information om Reblozyl**

Reblozyl fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 25. juni 2020.

Yderligere information om Reblozyl findes på agenturets websted under:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl)

Denne oversigt blev sidst ajourført i 03-2024.