



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/88452/2024

EMA/H/C/004444

Reblozyl (*luspatercept*)

Een overzicht van Reblozyl en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Reblozyl en wanneer wordt het voorgeschreven?

Reblozyl is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van bloedarmoede (lage concentraties rode bloedcellen) bij volwassenen met de volgende bloedstoornissen:

- myelodysplastische syndromen, een groep aandoeningen waarbij te weinig bloedcellen worden aangemaakt door het beenmerg – Reblozyl wordt gebruikt bij patiënten die regelmatig bloedtransfusies nodig hebben en die een zeer laag tot matig risico lopen dat hun aandoening zich ontwikkelt tot acute myeloïde leukemie (een vorm van bloedkanker);
- bèta-thalassemie, een genetische aandoening waarbij patiënten niet voldoende bèta-globine kunnen aanmaken, een component van hemoglobine (het eiwit in rode bloedcellen dat zuurstof door het lichaam transporteert).

Deze aandoeningen zijn zeldzaam en Reblozyl werd aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau ([myelodysplastische syndromen](#): 22 augustus 2014; [bèta-thalassemie](#): 29 juli 2014).

Het geneesmiddel bevat de werkzame stof luspatercept.

Hoe wordt Reblozyl gebruikt?

Reblozyl is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. De behandeling moet worden gestart door een arts die ervaring heeft met het behandelen van bloedziekten.

Het geneesmiddel wordt toegediend als een injectie onder de huid in de bovenarm, dij of buik. De aanbevolen dosis is afhankelijk van het gewicht van de patiënt en wordt aangepast afhankelijk van de reactie van de patiënt. De behandeling vindt eenmaal per drie weken plaats. Als bij de patiënt ernstige bijwerkingen ontstaan, moet de behandeling worden uitgesteld tot de bijwerkingen zijn verminderd.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Reblozyl.

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



Hoe werkt Reblozyl?

De werkzame stof in Reblozyl, luspatercept, reguleert de ontwikkeling van rode bloedcellen. Luspatercept blokkeert de zogenoemde Smad2/3-signaleringsroute die de rijping van rode bloedcellen vertraagt en overactief is bij patiënten met bèta-thalassemie en myelodysplastische syndromen. Door Smad2/3 te blokkeren wordt de productie van rode bloedcellen verhoogd en kunnen deze zich normaal ontwikkelen.

Welke voordelen bleek Reblozyl tijdens de studies te hebben?

Myelodysplastische syndromen

Eén hoofdstudie betrof 229 volwassenen met myelodysplastische syndromen die regelmatig bloedtransfusies nodig hadden. De patiënten kregen Reblozyl of placebo (een schijnbehandeling) toegediend naast de normale standaardbehandeling. 58 van de 153 patiënten (38 %) die Reblozyl gebruikten, hadden gedurende ten minste acht weken geen bloedtransfusie nodig, tegenover 10 van de 76 patiënten (13 %) die placebo kregen.

In een andere hoofdstudie onder 363 volwassenen met myelodysplastische syndromen die regelmatig bloedtransfusies nodig hadden, kregen de patiënten Reblozyl of epoëtine alfa (een ander geneesmiddel voor bloedarmoede). 60 % (110 van de 182) van de patiënten die Reblozyl kregen, had gedurende ten minste twaalf weken geen bloedtransfusie nodig en vertoonde een stijging van het hemoglobinegehalte van ten minste 1,5 g/dl, tegenover 35 % (63 van de 181) van de patiënten die epoëtine alfa kregen.

Bèta-thalassemie

Eén hoofdstudie betrof 336 patiënten met bèta-thalassemie die regelmatig bloedtransfusies nodig hadden. De patiënten kregen ofwel Reblozyl of placebo als aanvulling op de standaardbehandeling. De bloedtransfusies werden met ten minste een derde (33 %) verminderd bij 47 van de 224 patiënten (21 %) die Reblozyl kregen toegediend, tegenover bij 5 van de 112 patiënten (4,5 %) die placebo kregen.

Een tweede hoofdstudie betrof patiënten met bèta-thalassemie die niet regelmatig bloedtransfusies nodig hadden. De patiënten kregen gedurende ten minste 48 weken Reblozyl of placebo in combinatie met de standaardbehandeling. Na twaalf weken vertoonde 74 van de 96 patiënten die Reblozyl kregen (77 %) een stijging van ten minste 1 g/dl in hun hemoglobinegehalte zonder transfusies nodig te hebben, tegenover geen van de 49 patiënten die placebo kregen.

Welke risico's houdt het gebruik van Reblozyl in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Reblozyl.

De meest voorkomende bijwerkingen van Reblozyl bij patiënten met myelodysplastische syndromen (die bij meer dan 15 op de 100 personen kunnen optreden) zijn vermoeidheid, diarree, misselijkheid, zwakte, duizeligheid, perifeer oedeem (zwellings als gevolg van vloeistofretentie, met name van de enkels en voeten) en rugpijn. De meest voorkomende ernstige bijwerkingen zijn urineweginfectie (infectie van de structuren die de urine vervoeren), dyspneu en rugpijn.

Bij patiënten met bèta-thalassemie die transfusies nodig hebben zijn de meest voorkomende bijwerkingen van Reblozyl (die bij meer dan 15 op de 100 personen kunnen optreden) hoofdpijn, botpijn en gewrichtspijn. De meest voorkomende ernstige bijwerkingen zijn het gevolg van bloedstolsels in de aderen, zoals diepe veneuze trombose, poortadertrombose (stolsels in de aderen die de lever van bloed voorzien), ischemische beroerte (een plotselinge onderbreking van de

bloedstroom in de hersenen als gevolg van een blokkering van de bloedtoevoer) en longembolie (stolsels in de aderen die de longen van bloed voorzien).

De meest voorkomende bijwerkingen van Reblozyl bij patiënten met bèta-thalassemie die niet regelmatig transfusies nodig hebben (die bij meer dan 15 op de 100 personen kunnen optreden) zijn bot-, rug- en gewrichtspijn, hoofdpijn en prehypertensie (hoge normale bloeddruk) alsook hypertensie (hoge bloeddruk). De meest voorkomende ernstige bijwerkingen zijn traumatische breuken (een breuk die bijvoorbeeld wordt veroorzaakt door een val of een ongeval) en compressie van het ruggenmerg als gevolg van extramedullaire hemopoëse (ontwikkeling van bloedcellen buiten het beenmerg).

Reblozyl mag niet tijdens de zwangerschap worden toegediend. Vrouwen die zwanger kunnen worden, moeten tijdens de behandeling en gedurende ten minste drie maanden na de laatste dosis Reblozyl doeltreffende anticonceptie gebruiken. Patiënten die een behandeling nodig hebben om de groei van extramedullaire hematopoëtische massa's (de vorming van bloedcellen buiten het beenmerg) onder controle te houden, mogen Reblozyl niet gebruiken.

Waarom is Reblozyl geregistreerd in de EU?

Behandeling met frequente bloedtransfusies kan leiden tot ophoping van ijzer in het lichaam, wat de organen kan beschadigen. Reblozyl kan de behoefte aan bloedtransfusies verminderen bij patiënten met myelodysplastische syndromen of met bèta-thalassemie, terwijl de bijwerkingen ervan als beheersbaar worden beschouwd. Bij patiënten met bèta-thalassemie die niet regelmatig transfusies nodig hebben, wordt verwacht dat hogere hemoglobineconcentraties betere resultaten voor patiënten zullen opleveren. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Reblozyl groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Reblozyl te waarborgen?

Het bedrijf dat Reblozyl in de handel brengt, zal voorlichtingspakketten verstrekken voor artsen die Reblozyl voorschrijven, waarin wordt uitgelegd dat het geneesmiddel schadelijk kan zijn voor het ongeboren kind en waarin de stappen worden beschreven die moeten worden genomen voor een veilig gebruik van het geneesmiddel. Daarnaast zal het bedrijf aan vrouwen die zwanger kunnen worden, kaarten verstrekken over de veiligheidsmaatregelen die zij moeten nemen om zwangerschap te voorkomen.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Reblozyl, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Reblozyl continu gevolgd. Bijwerkingen waargenomen voor Reblozyl worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Reblozyl

Op 25 juni 2020 is een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Reblozyl verleend.

Meer informatie over Reblozyl is te vinden op de website van het Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/reblozyl

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 03-2024.