



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/269417/2017
EMA/H/C/004119

Riassunto destinato al pubblico

Besponsa

inotuzumab ozogamicin

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Besponsa. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Besponsa.

Per informazioni pratiche sull'uso di Besponsa i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Besponsa?

Besponsa è un medicinale antitumorale utilizzato nel trattamento di una tipologia di tumore del sangue che colpisce le cellule B (un tipo di globuli bianchi) denominato leucemia linfoblastica acuta (LLA) da precursori delle cellule B. Besponsa viene utilizzato in monoterapia negli adulti il cui tumore si è ripresentato o non ha risposto a un trattamento precedente.

Besponsa viene utilizzato esclusivamente nei pazienti affetti da "LLA da precursori delle cellule B CD22-positivi". Questo significa che i pazienti possiedono una proteina specifica (CD22) sulla superficie dei globuli bianchi. Nei pazienti che hanno un tipo di cromosoma noto come cromosoma Philadelphia, prima di somministrare Besponsa si deve provare il trattamento con un medicinale antitumorale denominato inibitore della tirosinchinasi.

Poiché il numero di pazienti affetti da LLA da precursori delle cellule B è basso, la malattia è considerata "rara" e Besponsa è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 7 giugno 2013.

Besponsa contiene il principio attivo inotuzumab ozogamicin.



Come si usa Besponsa?

Besponsa è somministrato per infusione (goccia a goccia) in vena in un arco di tempo di almeno un'ora. Le infusioni vengono somministrate nei giorni 1, 8 e 15 di un ciclo di trattamento di 3 o 4 settimane. Il medico può interrompere il trattamento o ridurre le dosi se il paziente manifesta determinati effetti indesiderati gravi.

I pazienti in cui Besponsa funziona bene devono ricevere 2 o 3 cicli, dopo di che possono sottoporsi a un trapianto di cellule staminali per sostituire il midollo osseo, l'unico trattamento curativo. I pazienti in cui il trattamento funziona bene ma che non verranno sottoposti a un trapianto di cellule staminali, possono ricevere fino a un massimo di 6 cicli di trattamento. Nei pazienti che non rispondono al trattamento, Besponsa deve essere interrotto dopo 3 cicli.

Besponsa può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere somministrato sotto la supervisione di un medico esperto nell'utilizzo di trattamenti antitumorali.

Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

Come agisce Besponsa?

Il principio attivo di Besponsa, inotuzumab ozogamicin, è un anticorpo monoclonale (un tipo di proteina) che è stato legato a una piccola molecola, N-acetil-gamma-caliceamicin dimetilidrazide. L'anticorpo monoclonale è stato concepito per riconoscere e legarsi a CD22 sulle cellule B tumorali. Una volta legato, il medicinale viene assorbito dalla cellula dove la caliceamicina diventa attiva, determinando rotture nel DNA cellulare e uccidendo in tal modo la cellula tumorale.

Quali benefici di Besponsa sono stati evidenziati negli studi?

È stato dimostrato che Besponsa è più efficace rispetto ad altra chemioterapia (medicinali per il trattamento di tumori) in uno studio principale che ha coinvolto 326 adulti affetti da LLA da precursori delle cellule B CD22-positivi, che si era ripresentata o non aveva risposto a un precedente trattamento. Il principale indicatore di efficacia è stato la risposta al trattamento. È stato ritenuto che i pazienti avessero risposto nel caso in cui non presentassero cellule B tumorali residue nel sangue e nel midollo osseo dopo il trattamento.

Un'analisi dei primi 218 pazienti trattati ha mostrato che, dopo almeno 2 cicli di trattamento, l'81 % (88 su 109) di pazienti che ricevevano Besponsa ha risposto al trattamento rispetto al 29 % (32 su 109) di pazienti che ricevevano altra chemioterapia. I pazienti che avevano risposto al trattamento potevano essere sottoposti a un trapianto di cellule staminali.

Quali sono i rischi associati a Besponsa?

Gli effetti indesiderati più comuni di Besponsa (che possono riguardare più di 1 persona su 5) sono trombocitopenia (bassa conta piastrinica nel sangue), neutropenia e leucopenia (bassa conta di globuli bianchi), infezione, anemia (bassa conta di globuli rossi), stanchezza, emorragia (sanguinamento), febbre, nausea (sensazione di star male), cefalea, neutropenia febbrile (bassa conta di globuli bianchi associata a febbre), dolore addominale (mal di stomaco), aumento dei livelli degli enzimi epatici denominati transaminasi e gamma-glutamilttransferasi, e iperbilirubinemia (elevati livelli nel sangue di bilirubina, un prodotto di degradazione dei globuli rossi).

Gli effetti indesiderati più gravi sono infezione, neutropenia febbrile, emorragia, dolore addominale, febbre, stanchezza e malattia veno-occlusiva del fegato/sindrome da ostruzione sinusoidale (VOD/SOS, una grave malattia del fegato).

Besponsa non deve essere utilizzato nei pazienti che hanno VOD/SOS o hanno avuto VOD/SOS grave o hanno altre malattie del fegato gravi.

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Besponsa, vedere il foglio illustrativo.

Perché Besponsa è approvato?

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha deciso che i benefici di Besponsa sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE.

Il CHMP ha ritenuto che, sebbene recentemente vi siano stati progressi nel trattamento di LLA da precursori delle cellule B, le opzioni terapeutiche per i pazienti restino limitate. Lo studio principale ha mostrato che Besponsa era migliore rispetto ad altri medicinali chemioterapici comunemente utilizzati poiché induceva una risposta nei pazienti e consentiva loro di sottoporsi a un trapianto di cellule staminali curativo.

Per quanto riguarda la sicurezza, gli effetti indesiderati di Besponsa sono simili a quelli di altri medicinali chemioterapici e possono essere generalmente gestiti con una riduzione della dose o l'interruzione del trattamento.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Besponsa?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Besponsa sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Altre informazioni su Besponsa

Per la versione completa dell'EPAR di Besponsa consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Besponsa, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico oppure il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Besponsa è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).