



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMADOC-1829012207-48119
EMA/H/C/004119

Besponsa (*inotuzumab ozogamicine*)

Aperçu en langage clair de Besponsa et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Besponsa et dans quel cas est-il utilisé?

Besponsa est un médicament anticancéreux utilisé pour le traitement d'un type de cancer du sang qui touche les lymphocytes B (un type de globules blancs), appelé leucémie aiguë lymphoblastique (LAL) à précurseurs B. Besponsa est utilisé seul chez les adultes et les enfants âgés d'un an et plus dont le cancer a récidivé ou n'a pas répondu à un traitement antérieur.

Besponsa n'est utilisé que chez les patients atteints de LAL à précurseurs B d'expression positive du CD22. Cela signifie que ces patients ont une protéine particulière (CD22) à la surface de leurs globules blancs.

Chez les adultes présentant un type de chromosome appelé chromosome Philadelphie, l'utilisation de Besponsa nécessite d'avoir préalablement tenté un traitement anticancéreux appelé inhibiteur de tyrosine kinase.

Chez les enfants âgés d'un an et plus, Besponsa peut être utilisé dans l'une des situations suivantes:

- le cancer a récidivé une première fois à la suite d'une allogreffe de cellules souches hématopoïétiques (une greffe de cellules souches issues d'un donneur);
- le cancer a récidivé une première fois et on considère que la maladie comporte un risque très élevé;
- le cancer a récidivé une deuxième fois ou plus;
- le cancer n'a pas répondu aux traitements antérieurs.

Chez les enfants présentant le chromosome Philadelphie, le traitement par médicaments ciblant la protéine BCR-ABL doit avoir fait l'objet d'un essai préalable et ne plus constituer une option appropriée avant de commencer Besponsa.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par la LAL à précurseurs B, cette maladie est dite «rare». C'est pourquoi Besponsa a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé

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



dans le traitement de maladies rares) le 7 juin 2013. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web](#) de l'EMA.

Besponsa contient la substance active inotuzumab ozogamicine.

Comment Besponsa est-il utilisé?

Besponsa n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être administré sous la supervision d'un médecin expérimenté dans l'utilisation de traitements anticancéreux et dans un environnement où des appareils de réanimation sont accessibles, afin que les patients qui développent certains effets indésirables graves puissent être traités immédiatement.

Besponsa est administré par perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine durant au moins une heure. Chez les enfants pesant moins de 35 kg, la durée de perfusion doit être portée à 1,5 heure afin de réduire le risque de certains effets indésirables. Les perfusions sont administrées le 1^{er}, le 8^e et le 15^e jours d'un cycle de traitement de trois ou quatre semaines. Le médecin peut interrompre le traitement ou réduire la dose si le patient développe certains effets indésirables graves.

Les patients chez qui Besponsa est efficace doivent recevoir deux ou trois cycles, après quoi ils peuvent bénéficier d'une greffe de cellules souches pour remplacer leur moelle osseuse, le seul traitement curatif. Les patients chez qui le traitement est efficace, mais qui ne vont pas bénéficier d'une greffe de cellules souches, peuvent recevoir jusqu'à six cycles de traitement, au maximum. Chez les patients qui ne répondent pas au traitement, Besponsa doit être arrêté après trois cycles.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Besponsa, voir la notice ou contactez votre médecin ou votre pharmacien.

Comment Besponsa agit-il?

La substance active de Besponsa, l'inotuzumab ozogamicine, est un anticorps monoclonal (un type de protéine) qui a été lié à une petite molécule, le N-acétyl-gamma-calichéamicine diméthylhydrazide. Cet anticorps monoclonal a été conçu pour reconnaître et se fixer sur le CD22 à la surface des cellules B cancéreuses. Une fois fixé, le médicament est absorbé par la cellule, où la calichéamicine devient active, provoquant des cassures dans l'ADN de la cellule et tuant ainsi la cellule cancéreuse.

Quels sont les bénéfices de Besponsa démontrés au cours des études?

Besponsa s'est montré plus efficace que d'autres chimiothérapies (médicaments qui traitent le cancer) dans une étude principale portant sur 326 adultes atteints de LAL à précurseurs B d'expression positive du CD22, qui était réapparue ou qui n'avait pas répondu à un traitement antérieur. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la réponse au traitement. On a considéré que les patients avaient répondu dès lors qu'il ne leur restait plus de cellules B cancéreuses dans le sang et la moelle osseuse après traitement.

Une analyse des 218 premiers patients traités a montré qu'après au moins deux cycles de traitement, 81 % (88 sur 109) des patients sous Besponsa répondaient au traitement, contre 29 % (32 sur 109) des patients traités par une autre chimiothérapie. Les patients qui répondaient au traitement ont pu ensuite bénéficier d'une greffe de cellules souches.

Une autre étude principale a porté sur 28 enfants âgés d'un an et plus atteints de LAL à précurseurs B d'expression positive du CD22, qui était réapparue ou qui n'avait pas répondu à un traitement antérieur. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la réponse au traitement. On a considéré que les patients avaient répondu dès lors qu'il ne leur restait plus de cellules B cancéreuses dans le

sang et la moelle osseuse après traitement, avec ou sans récupération complète des numérations sanguines. Environ 79 % (22 sur 28) des enfants ont obtenu une réponse après un cycle de traitement par Besponsa. Dix-huit enfants (64 %) ont bénéficié d'une greffe de cellules souches.

Les études réalisées avec Besponsa sont décrites plus en détail dans les rapports d'évaluation du médicament.

Quels sont les effets indésirables et les restrictions associés à l'utilisation de Besponsa?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Besponsa, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Besponsa chez les adultes (qui peuvent toucher plus d'une personne sur cinq) sont notamment les suivants: thrombopénie (faible nombre de plaquettes sanguines), neutropénie et leucopénie (faible nombre de globules blancs), infection, anémie (faible nombre de globules rouges), fatigue, hémorragie (saignements), fièvre, nausées (envie de vomir), maux de tête, neutropénie fébrile (faible nombre de globules blancs avec fièvre), douleurs abdominales (maux de ventre), augmentation des taux d'enzymes hépatiques appelées transaminases et gamma-glutamyltransférase, et hyperbilirubinémie (taux sanguins élevés de bilirubine, un produit de dégradation des globules rouges).

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Besponsa chez les enfants (qui peuvent toucher plus de trois personnes sur 10) sont notamment les suivants: thrombopénie, fièvre, anémie, vomissements, neutropénie, infections, hémorragie, leucopénie et nausées.

Certains effets indésirables peuvent être graves. Les plus fréquents chez les adultes (qui peuvent toucher plus de deux personnes sur 100) sont notamment les suivants: infection, neutropénie fébrile, hémorragie, douleurs abdominales, fièvre, fatigue et maladie veino-occlusive hépatique/syndrome d'obstruction sinusoidale (MVO/SOS, une maladie hépatique grave). Les plus fréquents chez les enfants (qui peuvent toucher plus de deux personnes sur 100) sont notamment les suivants: neutropénie fébrile, MVO et infection.

Besponsa ne doit pas être utilisé chez les patients qui présentent une MVO/SOS, qui ont présenté une MVO/SOS sévère ou qui ont d'autres maladies graves du foie.

Pourquoi Besponsa est-il autorisé dans l'UE?

Besponsa s'est avéré plus efficace que d'autres médicaments de chimiothérapie couramment utilisés pour obtenir une réponse chez les adultes atteints de LAL à précurseurs B et leur permettre de bénéficier d'une greffe de cellules souches curative. Il s'est également avéré efficace chez les enfants âgés d'un an et plus atteints de LAL à précurseurs B. En termes de sécurité, les effets indésirables observés sous Besponsa sont similaires à ceux d'autres médicaments de chimiothérapie et peuvent généralement être pris en charge par une réduction de la dose ou une suspension du traitement.

Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Besponsa sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Besponsa?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Besponsa ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Besponsa sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés avec Besponsa sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Besponsa:

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Besponsa le 28 juin 2017.

De plus amples informations sur Besponsa, y compris la notice et les rapports d'évaluation, sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/besponsa.

Pour obtenir des informations sur la disponibilité de ce médicament dans votre pays, contactez votre [autorité nationale compétente](#).

Dernière mise à jour du présent aperçu: 04-2026.