



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Besponsa (*inotuzumab ozogamicin*)

A Besponsa-ra vonatkozó közérthető áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Besponsa és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Besponsa egy daganatellenes gyógyszer, amelyet a B-sejteket (a fehérvérsejtek egyik fajtája) érintő vérképzőszervi daganatok egy bizonyos típusának kezelésére használnak, amelyet B-sejtes akut limfoblasztos leukémiának (ALL) neveznek. A Besponsa-t önmagában alkalmazzák olyan felnőtteknél, valamint 1 éves és idősebb gyermekeknél, akiknek a daganata kiújult vagy nem reagált a korábbi kezelésre.

A Besponsa csak CD22-pozitív prekursor B-sejt ALL-ben szenvedő betegeknél alkalmazható. Ez azt jelenti, hogy a betegek fehérvérsejtjeinek a felszínén egy bizonyos fehérje (CD22) megtalálható.

Azoknál a felnőtteknél, akiknek a sejtjeiben megtalálható a Philadelphia-kromoszómának nevezett kromoszóma, a tirozin-kináz gátlónak nevezett rákellenes gyógyszert kell először kipróbálni, mielőtt a Besponsa-val való kezelést megkezdnék.

1 éves és idősebb gyermekeknél a Besponsa az alábbi esetekben alkalmazható:

- a daganat az allogén hemopoetikus őssejt-transzplantációt (donortól származó őssejtek átültetése) követően első alkalommal újult ki;
- a daganat első alkalommal újult ki, és a betegség nagyon magas kockázatúnak minősül;
- a daganat második alkalommal vagy sokadjára újult ki;
- a daganat nem reagált a korábbi kezelésekre.

Philadelphia-kromoszómában szenvedő gyermekek esetében a BCR-ABL fehérjét célzó gyógyszerekkel végzett kezelést előzőleg ki kell próbálni, és annak a Besponsa-kezelés megkezdése előtt már nem megfelelőnek kell lennie.

Mivel a prekursor B-sejtes ALL-ben szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért az Besponsa-t 2013. június 7-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

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



További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Besponsa hatóanyaga az inotuzumab ozogamicin.

Hogyan kell alkalmazni a Besponsa-t?

A Besponsa csak receptre kapható, és a kezelést a daganatellenes gyógyszerek alkalmazásában tapasztalattal rendelkező orvos felügyelete mellett kell végezni olyan környezetben, ahol az újraélesztéshez szükséges felszerelések rendelkezésre állnak, hogy azonnal kezelni lehessen azokat a betegeket, akiknél bizonyos súlyos mellékhatások jelentkeznek.

A Besponsa beadása legalább 1 óra alatt, vénás infúzióban történik. A 35 kg-nál kisebb testsúlyú gyermekek esetében az infúzió idejét 1,5 órára kell növelni bizonyos mellékhatások kockázatának csökkentése érdekében. Az infúziókat egy 3 vagy 4 hetes kezelési ciklus 1., 8. és 15. napján kell beadni. Az orvos megszakíthatja a kezelést, illetve csökkentheti az adagot, amennyiben a betegnél bizonyos súlyos mellékhatások jelentkeznek.

Azoknak a betegeknél, akik jól reagálnak a Besponsa-ra, két vagy három ciklust kell kapniuk, amelyeket követően összejt-transzplantáció végezhető a csontvelő pótlása céljából, amely az egyetlen kuratív kezelés. Azok a betegek, akik jól reagálnak a kezelésre, de nem részesülnek összejt-transzplantációban, legfeljebb hat kezelési ciklust kaphatnak. Azoknál a betegeknél, akik nem reagálnak a kezelésre, a Besponsa adását le kell állítani a harmadik ciklust követően.

A Besponsa alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Besponsa?

A Besponsa hatóanyaga, az inotuzumab ozogamicin egy monoklonális antitest (egy fehérje), amely egy kis molekulához, az N-acetil-gamma-calicheamicin-dimetil-hidrazidhoz kötve van jelen. A monoklonális antitestet úgy alkották meg, hogy felismerje és kapcsolódjon a rákos B-sejteken levő CD22-höz. Miután hozzákötődött, a sejt felveszi a gyógyszert, a kalikeamicin aktívvá válik a sejt belsejében, és töréseket hoz létre a DNS-ében, így a rákos sejt pusztulását okozza.

Milyen előnyei voltak a Besponsa alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Besponsa igazoltan hatásosabb volt más kemoterápiás szereknél (daganatos betegségek kezelésére alkalmazott gyógyszerek) egy fő vizsgálatban 326, CD22-pozitív prekursor B-sejtes ALL-ben szenvedő felnőtt részvételével, akiknek a betegségük kiújult, illetve korábbi kezelésre nem reagált. A hatásosság fő mutatója a kezelésre kialakuló válasz volt. A betegeket akkor tekintették a kezelésre reagálónak, ha a kezelés után nem maradt rákos B-sejt a vérükben és a csontvelőjükben.

Az első 218 kezelt beteggel végzett analízis kimutatta, hogy legalább két kezelési ciklus után a Besponsa-t kapó betegek 81%-a (109 betegből 88), míg a más kemoterápiás szert kapóknak 21%-a (109 betegből 32) reagált a kezelésre. A kezelésre reagáló betegek a továbbiakban összejt-transzplantációban részesülhettek.

Egy másik fő vizsgálatban 28, 1 éves és idősebb, CD22-pozitív prekursor B-sejtes ALL-ben szenvedő gyermek vett részt, akiknek a betegsége kiújult vagy nem reagált a korábbi kezelésre. A hatásosság fő mutatója a kezelésre kialakuló válasz volt. A betegeket akkor tekintették a kezelésre reagálónak, ha a kezelés után nem maradt rákos B-sejt a vérükben és a csontvelőjükben, a vérkép teljes helyreállításával

vagy anélkül. A gyermekek körülbelül 79%-ánál (28-ból 22-nél) jött létre gyógyszerválasz egy Besponsa-kezelési ciklus után. Tizennyolc gyermek (64%) esetében került sor összejt-átültetésre.

A Besponsa-val végzett vizsgálatok részletesebb leírása a gyógyszer értékelő jelentéseiben található.

Milyen mellékhatásokkal és korlátozásokkal jár a Besponsa alkalmazása?

A Besponsa alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Besponsa leggyakoribb mellékhatásai (5 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) többek között a trombocitopénia (alacsony vérlemezkeszám a vérben), neutropénia és leukopénia (alacsony fehérvérsejtszám), fertőzés, anémia (alacsony vörösvértestszám), fáradtság, hemorrágia (vérzés), láz, hányinger, fejfájás, lázas neutropénia (alacsony fehérvérsejtszám lázzal), hasi fájdalom, a transzaminázoknak és a gamma-glutamiltranszferáznak nevezett májenzimek emelkedett szintje, valamint hiperbilirubinémia (a bilirubinnak, a vörösvértestek egyik lebontási termékének az emelkedett vérszintje).

A Besponsa leggyakoribb mellékhatásai gyermekeknél (10 beteg közül több mint 3-nál jelentkezhet) a trombocitopénia, láz, vérszegénység, hányás, neutropénia, fertőzések, vérzés, leukopénia és hányinger.

Egyes mellékhatások súlyosak lehetnek. Felnőtteknél a leggyakoribb mellékhatások (100 beteg közül több mint 2-nél jelentkezhet) a fertőzés, a lázas neutropénia, a vérzés, a hasi fájdalom, a láz, a fáradtság és a venookkluzív májbetegség/szinuszoidális obstrukciós szindróma (VOD/SOS, egy súlyos májbetegség). A gyermekeknél a leggyakoribb mellékhatások (100 beteg közül több mint 2-nél jelentkezhet) a lázas neutropénia, a VOD és a fertőzés.

A Besponsa-t nem szabad alkalmazni azoknál a betegeknél, akiknél VOD/SOS áll fenn vagy korábban súlyos VOD/SOS alakult ki, illetve egyéb súlyos májbetegségben szenvednek.

Miért engedélyezték a Besponsa forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Besponsa hatékonyabbnak bizonyult más, gyakran alkalmazott kemoterápiás gyógyszereknél a prekursor B-sejtes ALL-ben szenvedő felnőtteknél a terápiás válasz kiváltásában, és lehetővé tette számukra a kuratív összejt-transzplantációt. A gyógyszer hatásosnak bizonyult a prekursor B-sejtes ALL-ben szenvedő, 1 éves és idősebb gyermekeknél is. A biztonságosságot illetően a Besponsa mellékhatásai hasonlóak más kemoterápiás szerek mellékhatásaihoz, és általában az adag csökkentésével vagy a kezelés felfüggesztésével kezelhetők.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Besponsa alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, és alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Besponsa biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Besponsa biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Besponsa alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Besponsa alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Besponsa-val kapcsolatos egyéb információ

2017. június 28-án a Besponsa az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Besponsa-val kapcsolatban további információ, a betegtájékoztatót és az értékelő jelentést is beleértve, az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/besponsa.

Amennyiben tájékozódni szeretne arról, hogy a gyógyszer elérhető-e az Ön országában, vegye fel a kapcsolatot az [illetékes nemzeti hatósággal](#).

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 04-2026.