



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/597147/2024
EMA/H/C/003731

Blincyto (*blinatumomab*)

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

Milyen típusú gyógyszer a Blincyto és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Blincyto egy daganatellenes gyógyszer, amelyet a B-sejteket (a fehérvérsejtek egy típusa) érintő vérképzőszervi daganatok egy típusának, a B-prekurzor akut limfoblasztos leukémiának (ALL) a kezelésére alkalmaznak. Olyan felnőtteknél alkalmazzák, akiknél a daganatsejtek felszínén jelen van a CD19 nevű fehérje (CD19-pozitív), és:

- Philadelphia kromoszóma pozitív (Ph-pozitív), ami azt jelenti, hogy a daganatos sejtek egy Philadelphia kromoszómának nevezett kóros kromoszómával rendelkeznek. A Blincyto-t akkor alkalmazzák, ha a daganat legalább két, úgynevezett tirozin-kináz inhibitorral végzett korábbi kezelésre nem reagált, és nincsenek más kezelési lehetőségek;
- Philadelphia kromoszóma negatív (Ph-negatív), ahol a daganatos sejtek nem rendelkeznek rendellenes Philadelphia-kromoszómával. A Blincyto-t olyan felnőtteknél alkalmazzák, akiknél a korábbi kezelés után még mindig maradt kevés daganatos sejt (a továbbiakban: minimális reziduális betegség).

A Blincyto-t újonnan diagnosztizált Ph-negatív ALL-ben szenvedő felnőtteknél is alkalmazzák, ha a daganatsejtek felszínén megtalálható a CD19 nevű fehérje (CD19-pozitív). A gyógyszert konszolidációs terápia (a remisszió fokozására irányuló kezelés) részeként alkalmazzák.

A Blincyto-t 1 hónapos és idősebb, Ph-negatív ALL, CD19-pozitív éretlen B-sejtes ALL-ben szenvedő gyermekeknél alkalmazzák. A gyógyszert akkor alkalmazzák, amikor a daganat:

- nem javult, vagy két korábbi kezelés után kiújult, vagy allogén vérképző őssejt-transzplantációt követően tért vissza (olyan eljárás, amelynek során a beteg csontvelőjét donortól származó őssejtekkel helyettesítik, hogy egészséges sejteket termelő új csontvelőt hozzanak létre);
- első alkalommal kiújult, és magas kockázatúnak tekinthető. A Blincyto-t a konszolidációs terápiák részeként alkalmazzák.



Mivel az ALL „ritkának” minősül, ezért a Blincyto-t 2009. július 24-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről [itt](#) található.

A Blincyto hatóanyaga a blinatumomab.

Hogyan kell alkalmazni a Blincyto-t?

A Blincyto csak receptre kapható, és a kezelést a vérrákban szenvedő betegek kezelésében jártas orvosnak kell megkezdenie.

A Blincyto-t vénás infúzió formájában alkalmazzák. Az adag a beteg testsúlyától függ. A Blincyto-t egy négyhetes kezelési ciklus alatt folyamatosan adagolják. Az egyes kezelési ciklusokat kéthetes kezelésmentes szünet választja el egymástól.

A ciklusok száma a kezelt B-prekurzor ALL típusától és attól függ, hogy a beteg hogyan reagál a kezelésre. Bizonyos mellékhatások jelentkezése esetén a kezelést meg lehet szakítani vagy teljesen le lehet állítani.

A Blincyto beadása előtt a láz és az infúzióra kialakuló reakciók megelőzése érdekében gyógyszereket kell adni a betegeknek. A betegeknek a gerinc területére injekciózva kemoterápiás gyógyszereket is kell kapniuk az idegrendszert érintő leukémia megelőzésére.

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

Hogyan fejti ki hatását a Blincyto?

A B-sejtes ALL esetén bizonyos sejtek olyan B-sejteket képeznek, amelyek túl gyorsan osztódnak. Végül ezek a rendellenes vérsejtek helyettesítik a normális vérsejteket.

A Blincyto hatóanyaga, a blinatumomab egy ellenanyag, amelyet úgy alakítottak ki, hogy kötődjön a B-sejteken, így az ALL sejteken is megtalálható CD19 fehérjéhez. A gyógyszer a T-sejteken (másik fehérvérsejttípus) található CD3 fehérjéhez is kötődik.

A Blincyto tehát „hídként” összekapcsolja a T- és a B-sejteket, aminek hatására a T-sejtek olyan anyagokat bocsátanak ki, amelyek végül elpusztítják a daganatos B-sejteket.

Milyen előnyei voltak a Blincyto alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Blincyto-t két fő vizsgálatban tanulmányozták, amelyben olyan, éretlen B-sejtes ALL-ben szenvedő felnőttek vettek részt, akiknél a leukémia kiújult, vagy akiknek állapota a kezelés hatására nem javult. A betegek legfeljebb öt kezelési ciklusban kaptak Blincyto-t, és a Blincyto-t semmilyen más kezeléssel nem hasonlították össze. A hatásosság fő mutatója, amelyet a leukémia tüneteinek javulása és a vérsejtszámok normalizálódása vagy javulása alapján mértek, azoknak a betegeknek a százalékos arányán alapult, akiknél az ALL két kezelési ciklust követően javulást mutatott.

Az első vizsgálat, amelyben 189, Ph-negatív éretlen B-sejtes ALL-ben szenvedő beteg vett részt, igazolta, hogy a betegség a Blincyto-val kezelt betegek 43%-ánál (189-ből 81) javult. Azoknál a betegnél, akiknél az ALL javulást mutatott, a legtöbb esetben nem volt bizonyíték daganatos sejtekre. Átlagosan körülbelül hat hónap telt el a daganat kiújulása előtt, ami lehetővé tette, hogy az arra alkalmas betegek vértépzősejt-transzplantációban részesüljenek.

A második vizsgálatba olyan Ph-pozitív éretlen B-sejtes ALL-ben szenvedő betegeket vontak be, akiket korábban legalább 2 tirozin-kináz inhibitorral kezeltek. Az eredmények igazolták, hogy a betegek 36%-ánál (45 betegből 16) javulást mutatott az ALL.

Egy harmadik vizsgálatban 30-70 év közötti, újonnan diagnosztizált, Ph-negatív, éretlen B-sejtes ALL-ben szenvedő felnőttek vettek részt. A vizsgálat megállapította, hogy a konszolidációs kezelés részeként Blincyto-t kapó betegek hosszabb ideig éltek, mint azok a betegek, akik kizárólag konszolidációs terápiában részesültek. Az indukciós terápiát (a lehető legtöbb daganatsejt elpusztítására irányuló első kezelést) és az intenzívebbé válást célzó terápiát (kiegészítő kezelés, ha a daganat az első kezelést követően megszűnik) követően 286 olyan beteget, akiknél nem mutatkoztak rákra utaló jelek, a Blincyto-val kezelt konszolidációs terápiával együtt, illetve önmagában a konszolidációs terápiával. A Blincyto-t konszolidációs terápia részeként kapó betegek körülbelül 82%-a élt 5 év elteltével, míg a kizárólag konszolidációs kemoterápiát kapó betegeknél ez az arány körülbelül 63% volt.

Egy 70, 1 éves és idősebb, Ph-negatív éretlen B-sejtes ALL-ben szenvedő gyermek részvételével végzett vizsgálatban a Blincyto-kezelés hatására a betegek 33%-ánál állt be javulás.

Egy másik vizsgálatban, amelyet 108, 28 naposnál idősebb gyermek részvételével végeztek, akik kiújult magas kockázatú Ph-negatív B-prekurzor ALL-ben szenvedtek, azt találták, hogy amikor a Blincyto-t a konszolidációs terápia részeként alkalmazták, a betegek 33%-ánál fordultak elő események (például relapszus a kezelésre adott választ követően vagy a kezelésre adott válasz hiánya), szemben a hagyományos konszolidációs kemoterápiában részesülő betegek 57%-ával.

A Blincyto-t 116, minimális reziduális betegségben szenvedő betegnél is tanulmányozták egy fő vizsgálatban, amelyben a Blincyto-t nem hasonlították össze más kezeléssel. Az eredmények azt mutatták, hogy a Blincyto-kezelést követően a betegek körülbelül 78%-ánál nem voltak kimutatható daganatos sejtek.

Ezenfelül az adatok azt mutatták, hogy amikor a Blincyto-t 1 hónapos és 1 éves kor közötti gyermekeknek adják, a gyógyszer vérszintje hasonló volt az idősebb gyermekeknél és a felnőtteknél tapasztaltakhoz. A vállalat a szakirodalomból származó adatokat is benyújtott a Blincyto CD19 pozitív éretlen B-sejtes ALL-ben szenvedő, 1 hónapos és 1 évesnél fiatalabb kor közötti gyermekeknél történő alkalmazásával kapcsolatban, amelyek alátámasztották a gyógyszer alkalmazását ezeknél a betegeknél.

Milyen kockázatokkal jár a Blincyto alkalmazása?

A Blincyto alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Blincyto leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fertőzések, láz, infúzióval kapcsolatos reakciók (például láz, vérnyomásváltozás és bőrkiütés), fejfájás, lázas neutropénia (a neutrofilok, azaz a fehérvérsejtek egy típusának alacsony száma lázzal), székrekedés, hányinger (émelygés), hasmenés, hányás, vérszegénység (alacsony vörösvértestszám), ödéma (duzzanat folyadék-visszatartás miatt), neutropénia (a neutrofilek alacsony szintje), leukopénia (alacsony fehérvérsejtszám), trombocitopénia (alacsony vérlemezkeszám), májfunkciós eltérések a vérérvizsgálat során, remegés, hátfájás, hidegrázás, alacsony vérnyomás, alacsony immunglobulinszint (antitestek), citokinfelszabadulási szindróma (egy életveszélyes állapot, amely lázat, hányást, légszomjat, fájdalmat és alacsony vérnyomást okozhat), tachikardia (gyors szívverés), alvászavar, végtagfájdalom, hasfájás, köhögés és bőrkiütés.

A legsúlyosabb mellékhatások a fertőzések, a lázzal vagy anélkül jelentkező neutropénia, a neurológiai események (például zavartság, remegés, szédülés, zsibbadás vagy bizsergés), a citokinfelszabadulási szindróma, valamint a tumorlízis-szindróma (a daganatos sejtek lebomlása miatt kialakuló életveszélyes szövődmény).

A Blincyto szoptató nőknél nem alkalmazható.

Miért engedélyezték a Blincyto forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Blincyto alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető. Az Ügynökség megállapította, hogy a Blincyto jótékony hatással van az olyan, Ph-negatív, éretlen B-sejtes ALL-ben szenvedő, magas kockázati csoportba tartozó felnőttekre és gyermekekre, akik számára kevés terápiás lehetőség áll rendelkezésre, és akiknek prognózisa általában rossz. A gyógyszer azoknál a Ph-negatív, CD19-pozitív prekursor B-sejtes ALL-ben szenvedő felnőtteknél is előnyös, akiknél konszolidációs terápia részeként alkalmazva magas a daganat kiújulásának kockázata. Ugyanakkor kevés adat áll rendelkezésre a Blincyto előnyeiről az éretlen B-sejtes ALL-ben szenvedő, 30 év alatti betegeknél, beleértve a gyermekeket is, akiknél fennáll a daganat kiújulásának kockázata. A Blincyto olyan felnőtteknél is hatásos, akik Ph-pozitív B-sejtes ALL-ben szenvednek, amely nem reagált a tirozin-kináz inhibitoroknak nevezett gyógyszerekkel végzett korábbi kezelésre.

A Blincyto biztonságossági profilját az alkalmazására vonatkozó ajánlások betartása esetén elfogadhatónak ítélték.

A Blincyto-t eredetileg „feltételes forgalombahozatali engedéllyel” engedélyezték. Az engedélyt rendes forgalomba hozatali engedélyre változtatták, mivel a vállalat az Ügynökség által kért további adatokat nyújtott be.

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

A Blincyto-t forgalmazó vállalat két vizsgálatból származó adatokat fog szolgáltatni, amelyek a Blincyto biztonságosságát és klinikai gyakorlatban való alkalmazását vizsgálják, többek között gyermekeknél is.

A vállalat oktatóanyagokat is biztosít a betegek és az egészségügyi szakemberek számára arról, hogy hogyan kell alkalmazni a Blincyto-t, és hogyan kell kezelni a gyógyszerrel kapcsolatos kockázatokat. A betegek egy figyelmeztető kártyát is kapnak.

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

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

A Blincyto-val kapcsolatos egyéb információ

2015. november 23-án a Blincyto az Európai Unió egész területére érvényes feltételes forgalombahozatali engedélyt kapott. A feltételes engedély 2018. június 18-án vált teljes érvényű forgalombahozatali engedéllyé.

További információ a Blincyto gyógyszerről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/Human/EPAR/blincyto.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 01-2025.