



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Besponsa (*inotuzumab ozogamicin*)

Sintesi in linguaggio semplice di Besponsa e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Besponsa e per che cosa si usa?

Besponsa è un medicinale antitumorale indicato nel trattamento di un tipo di cancro del sangue che interessa le cellule B (un tipo di globuli bianchi) denominato leucemia linfoblastica acuta (LLA) da precursori delle cellule B. Besponsa è usato da solo in adulti e bambini di età pari o superiore a 1 anno nei quali il cancro ha recidivato o non ha risposto a un trattamento precedente.

Besponsa è usato esclusivamente nei pazienti affetti da LLA da precursori delle cellule B CD22-positivi. Questo significa che i pazienti hanno 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 un trattamento con un medicinale antitumorale denominato inibitore della tirosinchinasi.

Nei bambini di età pari o superiore a 1 anno Besponsa può essere usato nelle seguenti situazioni:

- il cancro ha recidivato per la prima volta dopo un trapianto allogenico di cellule staminali ematopoietiche (trapianto di cellule staminali da un donatore);
- il cancro ha recidivato per la prima volta e la malattia è considerata a rischio molto elevato;
- il cancro ha recidivato una seconda volta o più volte;
- il cancro non ha risposto a trattamenti precedenti.

Nei bambini con il cromosoma Philadelphia deve essere già stato provato un trattamento con medicinali specifici per la proteina BCR-ABL e non essere più indicato prima di iniziare la terapia con Besponsa.

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. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Besponsa contiene il principio attivo inotuzumab ozogamicin.

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



Come si usa Besponsa?

Besponsa può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere somministrato sotto la supervisione di un medico esperto di trattamenti antitumorali e in un ambiente in cui siano disponibili strutture per la rianimazione, in modo che i pazienti che sviluppano taluni effetti indesiderati gravi possano essere trattati immediatamente.

Besponsa è somministrato per infusione (flebo) in vena della durata di almeno un'ora. Nei bambini di peso inferiore a 35 kg la durata dell'infusione deve essere aumentata a 1,5 ore per ridurre il rischio di determinati effetti indesiderati. Le infusioni sono 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 la dose se il paziente evidenzia determinati effetti indesiderati gravi.

Ai pazienti che rispondono adeguatamente al trattamento con Besponsa devono essere somministrati 2 o 3 cicli, dopo i quali può essere effettuato un trapianto di cellule staminali per sostituire il midollo osseo. Tale trapianto è l'unico trattamento curativo esistente. Ai pazienti che rispondono adeguatamente al trattamento ma che non verranno sottoposti a trapianto di cellule staminali può essere somministrato fino a un massimo di 6 cicli di trattamento. Nei pazienti che non rispondono al trattamento Besponsa deve essere interrotto dopo 3 cicli.

Per maggiori informazioni sull'uso di Besponsa, vedere il foglio illustrativo o consultare il medico o il farmacista.

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 denominata N-acetil-gamma-calicheamicina dimetilidrazide. L'anticorpo monoclonale è stato concepito per riconoscere e legarsi a CD22 sulle cellule B tumorali. Una volta legatosi, il medicinale viene assorbito dalla cellula dove calicheamicina diventa attiva, determinando rotture nel DNA cellulare e provocando in tal modo la morte della cellula tumorale.

Quali benefici di Besponsa sono stati evidenziati negli studi?

In uno studio principale svolto su 326 pazienti adulti affetti da LLA da precursori delle cellule B CD22-positivi che aveva recidivato o non aveva risposto a un precedente trattamento è stato evidenziato che Besponsa è più efficace di un'altra chemioterapia (somministrazione di medicinali per il trattamento del cancro). Il principale indicatore di efficacia è stato la risposta al trattamento. È stato considerato che vi fosse risposta al trattamento quando i pazienti non presentavano cellule B tumorali residue nel sangue e nel midollo osseo dopo il trattamento.

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

Un altro studio principale è stato condotto su 28 bambini di età pari o superiore a 1 anno affetti da LLA da precursori delle cellule B CD22-positivi che aveva recidivato o non aveva risposto a un trattamento precedente. Il principale indicatore di efficacia è stato la risposta al trattamento. È stato considerato che vi fosse risposta al trattamento quando i pazienti non presentavano cellule B tumorali residue nel sangue e nel midollo osseo dopo il trattamento, con o senza recupero completo dell'emocromo. Circa il 79 % (22 su 28) dei bambini ha evidenziato una risposta dopo 1 ciclo di trattamento con Besponsa. Diciotto bambini (64 %) sono stati sottoposti a trapianto di cellule staminali.

Gli studi effettuati con Besponsa sono descritti più dettagliatamente nelle relazioni di valutazione del medicinale.

Quali sono gli effetti indesiderati e le limitazioni di Besponsa?

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Besponsa (che possono riguardare più di 1 persona su 5) comprendono 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, aumento dei livelli degli enzimi epatici denominati transaminasi e gamma-glutamilttransferasi e iperbilirubinemia (elevati livelli nel sangue di bilirubina, un prodotto della degradazione dei globuli rossi).

Gli effetti indesiderati più comuni di Besponsa nei bambini (che possono riguardare più di 3 persone su 10) comprendono trombocitopenia, febbre, anemia, vomito, neutropenia, infezioni, emorragia, leucopenia e nausea.

Alcuni effetti indesiderati possono essere gravi. I più frequenti negli adulti (che possono riguardare più di 2 persone su 100) comprendono infezione, neutropenia febbrile, emorragia, dolore addominale, febbre, stanchezza e malattia veno-occlusiva del fegato/sindrome da ostruzione sinusoidale (VOD/SOS, una malattia epatica grave). I più frequenti nei bambini (che possono riguardare più di 2 persone su 100) comprendono neutropenia febbrile, VOD e infezione.

Besponsa non deve essere somministrato a pazienti che hanno VOD/SOS o hanno avuto VOD/SOS in forma grave o hanno altre gravi malattie del fegato.

Perché Besponsa è autorizzato nell'UE?

Besponsa si è dimostrato più efficace di altri medicinali comunemente utilizzati in chemioterapia nell'indurre una risposta in pazienti adulti affetti da LLA da precursori delle cellule B e nel fare in modo che potessero sottoporsi a trapianto di cellule staminali curativo. Si è inoltre dimostrato efficace nei bambini di età pari o superiore a 1 anno affetti da LLA da precursori delle cellule B. Per quanto riguarda la sicurezza, gli effetti indesiderati di Besponsa sono simili a quelli di altri medicinali chemioterapici e sono di solito gestibili riducendo la dose o sospendendo il trattamento.

L'Agenzia europea per i medicinali ha pertanto deciso che i benefici di Besponsa sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

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.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Besponsa sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Besponsa sono valutati attentamente e si intraprendono tutte le azioni necessarie per salvaguardare i pazienti.

Altre informazioni su Besponsa

Besponsa ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 28 giugno 2017.

Ulteriori informazioni su Besponsa, compresi il foglio illustrativo e le relazioni di valutazione, sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/besponsa.

Per informazioni sulla disponibilità di questo medicinale nel proprio paese, contattare l'[autorità nazionale competente](#).

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 04-2026.