



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Blincyto (*blinatumomab*)

Sintesi di Blincyto e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Blincyto e per cosa si usa?

Blincyto è un medicinale antitumorale usato per il trattamento di un tipo di tumore del sangue che colpisce le cellule B (un tipo di globuli bianchi) denominato leucemia linfoblastica acuta (LLA) da precursori delle cellule B. È usato negli adulti le cui cellule tumorali presentano sulla superficie una proteina denominata CD19 (positiva per CD19) e la cui LLA è:

- positiva per il cromosoma Philadelphia (Ph-positiva), il che significa che le cellule tumorali hanno un cromosoma anomalo denominato cromosoma Philadelphia. Blincyto è usato se il tumore non ha risposto a trattamenti precedenti con almeno due medicinali noti come inibitori della tirosin chinasi e non sono disponibili altre opzioni di trattamento;
- negativa per il cromosoma Philadelphia (Ph-negativa), in cui le cellule tumorali non hanno un cromosoma Philadelphia anomalo. Blincyto è usato negli adulti che presentano ancora un numero esiguo di cellule tumorali dopo un precedente trattamento (definito come malattia minima residua).

Blincyto è usato anche negli adulti con LLA Ph-negativa di nuova diagnosi quando le cellule tumorali presentano una proteina denominata CD19 sulla loro superficie (positiva per CD19). È utilizzato nell'ambito della terapia di consolidamento (trattamento per migliorare la remissione).

Blincyto è usato nei bambini di età pari o superiore a 1 mese affetti da LLA Ph-negativa, LLA da precursori delle cellule B, positiva per CD19. È usato quando il tumore:

- non è migliorato o si è ripresentato dopo due terapie precedenti o a seguito di un trapianto di cellule staminali ematopoietiche allogeniche (una procedura in cui il midollo osseo del paziente è sostituito da cellule staminali di un donatore per formare nuovo midollo osseo che produce cellule sane);
- è in prima recidiva (ossia è tornato per la prima volta) ed è considerato ad alto rischio. Blincyto è usato nell'ambito della terapia di consolidamento.

La LLA è rara e Blincyto è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 24 luglio 2009. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili [qui](#).

Blincyto contiene il principio attivo blinatumomab.



Come si usa Blincyto?

Blincyto può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato da un medico esperto nel trattamento di pazienti affetti da tumore del sangue.

Blincyto è somministrato per infusione (flebo) in vena. La dose dipende dal peso corporeo del paziente. Blincyto è somministrato tramite infusione continua durante un ciclo di trattamento di quattro settimane. Ogni ciclo è separato dal successivo da un intervallo di due settimane senza trattamento.

Il numero di cicli dipende dal tipo di LLA da precursori delle cellule B trattata e dalla risposta del paziente al trattamento. Il trattamento può essere interrotto o sospeso definitivamente se il paziente sviluppa determinati effetti indesiderati.

Prima della somministrazione di Blincyto, i pazienti devono assumere medicinali atti a prevenire febbre e reazioni all'infusione. Inoltre, devono essere loro praticate iniezioni di medicinali chemioterapici nella regione spinale per evitare la diffusione della leucemia nel sistema nervoso.

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

Come agisce Blincyto?

Nella LLA da precursori delle cellule B, alcune cellule formano cellule B che si moltiplicano troppo rapidamente. Alla fine, queste cellule ematiche anomale sostituiscono quelle normali.

Il principio attivo di Blincyto, blinatumomab, è un anticorpo che è stato concepito per legarsi a una proteina (la CD19) presente sulle cellule B, tra cui le cellule della LLA. Inoltre, si lega a una proteina (la CD3) che si trova sulle cellule T (un altro tipo di globuli bianchi).

Blincyto agisce quindi come un "ponte" che mette in collegamento le cellule T e le cellule B, facendo sì che le cellule T rilascino sostanze che eliminano le cellule B tumorali.

Quali benefici di Blincyto sono stati evidenziati negli studi?

Blincyto è stato esaminato nell'ambito di due studi principali condotti su adulti affetti da LLA da precursori delle cellule B, nei quali la leucemia si era ripresentata o non era regredita dopo un trattamento. I pazienti sono stati sottoposti fino a cinque cicli di trattamento con Blincyto e il medicinale non è stato messo confronto con altre terapie. Il principale parametro dell'efficacia si basava sulla percentuale di pazienti la cui LLA evidenziava una regressione dopo due cicli di trattamento, misurato come risoluzione dei segni della leucemia e normalizzazione o miglioramento delle conte delle cellule del sangue.

Il primo studio, condotto su 189 pazienti affetti da LLA da precursori delle cellule B Ph-negativa, ha riscontrato un miglioramento nel 43 % (81 su 189) dei pazienti trattati con Blincyto. Non sono state riscontrate cellule tumorali nella maggior parte dei pazienti con LLA nei quali è stata osservata una regressione della malattia. I pazienti hanno vissuto in media circa sei mesi prima della recidiva del tumore; tale arco di tempo potrebbe consentire ai pazienti idonei di sottoporsi a un trapianto di cellule staminali.

Il secondo studio ha riguardato pazienti affetti da LLA da precursori delle cellule B Ph-positiva che erano stati trattati in precedenza con almeno due inibitori della tirosin chinasi. I risultati hanno evidenziato una regressione della LLA nel 36 % (16 su 45) dei pazienti.

Un terzo studio ha coinvolto adulti, di età compresa tra 30 e 70 anni, affetti da LLA da precursori delle cellule B Ph-negativa di nuova diagnosi. Lo studio ha rilevato che i pazienti trattati con Blincyto nell'ambito della terapia di consolidamento hanno vissuto più a lungo rispetto ai pazienti trattati con la sola terapia di consolidamento. Dopo la terapia di induzione (primo trattamento per uccidere il maggior numero possibile di cellule tumorali) e la terapia di intensificazione (trattamento aggiuntivo se il tumore scompare dopo il primo trattamento), 286 pazienti che non presentavano segni tumorali hanno ricevuto Blincyto insieme alla terapia di consolidamento o la sola terapia di consolidamento. Circa l'82 % dei pazienti trattati con Blincyto nell'ambito della terapia di consolidamento era in vita dopo 5 anni, rispetto a circa il 63 % dei pazienti trattati con la sola chemioterapia di consolidamento.

Uno studio condotto su 70 bambini a partire da 1 anno di età affetti da LLA da precursori delle cellule B Ph-negativa ha rilevato che nel 33 % dei pazienti il trattamento con Blincyto ha portato a una risoluzione della malattia.

Un altro studio su 108 bambini di età superiore ai 28 giorni affetti da LLA da precursori delle cellule B Ph-negativa con alto rischio di recidiva ha rilevato che, quando Blincyto è stato usato nell'ambito della terapia di consolidamento, il 33 % dei pazienti ha manifestato eventi (quali una recidiva dopo la risposta al trattamento o una mancanza di risposta) rispetto al 57 % dei pazienti in chemioterapia di consolidamento standard.

Blincyto è stato esaminato anche in uno studio principale condotto su 116 pazienti con malattia minima residua. In questo studio Blincyto non è stato confrontato con altri trattamenti. Dai risultati è emerso che circa il 78 % dei pazienti non presentava cellule tumorali rilevabili dopo il trattamento con Blincyto.

Inoltre, i dati hanno dimostrato che quando Blincyto è somministrato a bambini di età compresa tra 1 mese e 1 anno, i livelli del medicinale nel sangue erano simili a quelli osservati nei bambini più grandi e negli adulti. La ditta ha inoltre fornito dati tratti dalla letteratura sull'uso di Blincyto in bambini di età compresa tra 1 mese e meno di 1 anno affetti da LLA da precursori delle cellule B positiva per CD19, che ne hanno avvalorato l'uso in questi pazienti.

Quali sono i rischi associati a Blincyto?

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Blincyto (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono infezioni, febbre, reazioni correlate all'infusione (come febbre, alterazioni della pressione sanguigna ed eruzione cutanea), mal di testa, neutropenia febbrile (bassi livelli di un tipo di globuli bianchi chiamati neutrofili con febbre), stipsi, nausea, diarrea, vomito, anemia (bassi livelli di globuli rossi), edema (gonfiore dovuto a ritenzione di liquidi), neutropenia (bassi livelli di neutrofili), leucopenia (bassi livelli di globuli bianchi), trombocitopenia (bassi livelli di piastrine nel sangue), esami del sangue che mostrano alterazioni della funzionalità epatica, tremore, dolore alla schiena, brividi, pressione sanguigna bassa, bassi livelli di immunoglobuline (anticorpi), sindrome da rilascio di citochine (un'affezione potenzialmente letale che può causare febbre, vomito, respiro affannoso, dolore e pressione sanguigna bassa), tachicardia (battito cardiaco accelerato), insonnia (difficoltà a dormire), dolore alle braccia e alle gambe, dolore addominale (mal di pancia), tosse ed eruzione cutanea.

Gli effetti indesiderati più gravi comprendono infezioni, neutropenia accompagnata o meno da febbre, eventi neurologici (quali confusione, tremolio, capogiro, intorpidimento o vellicchio), sindrome da rilascio di citochine e sindrome da lisi tumorale (una complicanza potenzialmente letale dovuta alla disgregazione delle cellule tumorali).

Blincyto non deve essere somministrato a donne che allattano al seno.

Perché Blincyto è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Blincyto sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE. L'Agenzia ha osservato che Blincyto apporta benefici nel trattamento della LLA da precursori delle cellule B Ph-negativa negli adulti e nei bambini a rischio elevato che hanno poche opzioni terapeutiche e che, in generale, presentano una prognosi infausta. È anche di beneficio negli adulti con LLA da precursori delle cellule B Ph-negativa, positiva per CD19, che sono ad alto rischio di recidiva del tumore se usato nell'ambito della terapia di consolidamento. Tuttavia, i dati disponibili sui benefici di Blincyto nei pazienti affetti da questa forma di LLA da precursori delle cellule B di età inferiore a 30 anni, compresi i bambini, e a rischio di recidiva del tumore sono limitati. Blincyto è efficace anche negli adulti affetti da LLA da precursori delle cellule B Ph-positiva che non ha risposto a un precedente trattamento con medicinali denominati inibitori della tirosin chinasi.

Il profilo di sicurezza di Blincyto è stato considerato accettabile, a condizione che vengano seguite le raccomandazioni relative al suo utilizzo.

Blincyto aveva inizialmente ottenuto una "autorizzazione subordinata a condizioni" che è stata convertita in un'autorizzazione standard in quanto la ditta ha fornito i dati aggiuntivi richiesti dall'Agenzia.

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

La ditta che commercializza Blincyto fornirà i dati di due studi che ne esaminano la sicurezza e l'uso nella pratica clinica, anche nei bambini.

La ditta fornirà inoltre ai pazienti e agli operatori sanitari materiale informativo sulle modalità di utilizzo di Blincyto e sulla gestione dei rischi associati al medicinale. I pazienti riceveranno anche una scheda di allerta.

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

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Blincyto sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Blincyto sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Blincyto

Blincyto ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio subordinata a condizioni valida in tutta l'UE il 23 novembre 2015. L'autorizzazione è stata trasformata in un'autorizzazione all'immissione in commercio incondizionata il 18 giugno 2018.

Ulteriori informazioni su Blincyto sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/Human/EPAR/blincyto.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 01-2025.