



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Besponsa (*inotuzumab ozogamycyny*)

Przegląd wiedzy na temat leku Besponsa i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE w przystępnym języku

Czym jest lek Besponsa i w jakim celu się go stosuje

Besponsa jest lekiem przeciwnowotworowym stosowanym w leczeniu pewnego typu raka krwi, który atakuje limfocyty B (rodzaj krwinek białych), zwanego ostrą białaczką limfoblastyczną (ang. *acute lymphoblastic leukaemia*, ALL) wywodzącą się z komórek prekursorowych limfocytów B. Lek Besponsa stosuje się w monoterapii u osób dorosłych i dzieci w wieku od 1. roku życia, u których doszło do nawrotu nowotworu lub u których nie wystąpiła odpowiedź na wcześniejsze leczenie.

Lek Besponsa jest stosowany wyłącznie u pacjentów z ostrą białaczką limfoblastyczną wywodzącą się z komórek prekursorowych limfocytów B, z ekspresją antygenu CD22. Oznacza to, że u pacjentów na powierzchni krwinek białych występuje określone białko (CD22).

U osób dorosłych z typem chromosomu zwanym chromosomem Philadelphia przed rozpoczęciem stosowania leku Besponsa należy najpierw podjąć próbę leczenia lekiem przeciwnowotworowym zwanym inhibitorem kinazy tyrozynowej.

U dzieci w wieku od 1. roku życia lek Besponsa można stosować w dowolnej z następujących sytuacji:

- w pierwszym nawrocie nowotworu po allogenicznym przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych (przeszczepieniu komórek macierzystych od dawcy);
- po pierwszym nawrocie nowotworu i uznaje się, że istnieje bardzo wysokie ryzyko zachorowania na tę chorobę;
- po drugim lub kolejnym nawrocie nowotworu;
- nowotwór nie zareagował na wcześniejsze leczenie.

U dzieci z chromosomem Philadelphia stosowanie leku Besponsa można wdrożyć, jeśli wcześniej wypróbowano leczenie celowane na białko BCR-ABL i uznano je za nieodpowiednie.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z ostrą białaczką limfoblastyczną wywodzącą się z komórek prekursorowych limfocytów B choroba ta jest uważana za rzadko występującą, w dniu 7 czerwca 2013

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



r. lek Besponsa uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierociego można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Besponsa jest inotuzumab ozogamycyny.

Jak stosować lek Besponsa

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinno odbywać się pod nadzorem lekarza mającego doświadczenie w stosowaniu leków przeciwnowotworowych i w miejscu, w którym dostępny jest sprzęt do reanimacji, tak aby pacjenci, u których wystąpią określone poważne działania niepożądane, mogli natychmiast uzyskać pomoc.

Lek Besponsa podaje się we wlewie dożylnym (kroplówce) trwającym co najmniej 1 godzinę. U dzieci, które ważą mniej niż 35 kg, czas wlewu należy wydłużyć do 1,5 godziny, aby zmniejszyć ryzyko wystąpienia niektórych działań niepożądanych. Wlewy podaje się w 1., 8. i 15. dniu 3- lub 4-tygodniowego cyklu leczenia. Lekarz może przerwać leczenie lub zmniejszyć dawkę, jeśli u pacjenta wystąpią pewne poważne działania niepożądane.

Pacjenci, u których występuje prawidłowa reakcja na lek Besponsa, powinni otrzymać 2 lub 3 cykle leczenia, po czym mogą zostać poddani przeszczepowi komórek macierzystych w celu wymiany szpiku kostnego, co jest jedyną metodą prowadzącą do wyleczenia. Pacjenci, którzy prawidłowo reagują na leczenie, ale nie zostaną poddani przeszczepowi komórek macierzystych, mogą otrzymać maksymalnie 6 cykli leczenia. Jeśli organizm pacjenta nie reaguje na leczenie, podawanie leku Besponsa należy przerwać po 3 cyklach leczenia.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Besponsa znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Besponsa?

Substancja czynna leku Besponsa, inotuzumab ozogamycyny, jest przeciwciałem monoklonalnym (typ białka), które zostało związane z małą cząsteczką, dimetylohydrazidem N-acetylogammakalicheamycyny. Przeciwciało monoklonalne zostało zaprojektowane w taki sposób, aby rozpoznawało CD22 na nowotworowych limfocytach B i przyłączało się do niego. Po przyłączeniu lek jest pobierany przez komórkę, w której kalicheamycyna uaktywnia się, powodując pęknięcia DNA komórki nowotworowej i w ten sposób powodując jej zniszczenie.

Korzyści ze stosowania leku Besponsa wykazane w badaniach

W jednym badaniu głównym z udziałem 326 osób dorosłych z ostrą białaczką limfoblastyczną wywodzącą się z komórek prekursorowych limfocytów B, z ekspresją antygenu CD22, u których nastąpił nawrót choroby lub którzy nie reagowali na wcześniejsze leczenie, udowodniono, że lek Besponsa jest bardziej skuteczny niż inna chemioterapia (lek przeciwnowotworowy). Głównym kryterium oceny skuteczności była odpowiedź na leczenie. Uznano, że pacjenci zareagowali na leczenie, jeżeli po leczeniu w ich krwi i szpiku kostnym nie występowały żadne nowotworowe limfocyty B.

W analizie pierwszych 218 leczonych pacjentów wykazano, że po co najmniej 2 cyklach leczenia 81% (88 ze 109) pacjentów przyjmujących lek Besponsa reagowało na leczenie, podczas gdy w przypadku innej chemioterapii było to 29% (32 ze 109) pacjentów. Pacjenci, którzy zareagowali na leczenie, mogli zostać następnie poddani przeszczepowi komórek macierzystych.

W innym badaniu głównym uczestniczyło 28 dzieci w wieku od 1. roku życia z ostrą białaczką limfoblastyczną wywodzącą się z komórek prekursorowych limfocytów B, u których doszło do nawrotu choroby lub u których nie wystąpiła odpowiedź na wcześniejsze leczenie. Głównym kryterium oceny skuteczności była odpowiedź na leczenie. Uznano, że pacjenci zareagowali na leczenie, jeżeli po leczeniu w ich krwi i szpiku kostnym nie występowały żadne nowotworowe limfocyty B, z pełnym lub częściowym powrotem parametrów krwi do normy. Po jednym cyklu leczenia lekiem Besponsa u około 79% (22 z 28) dzieci wystąpiła odpowiedź na leczenie. U 18 (64%) dzieci wykonano przeszczepienie komórek macierzystych.

Badania dotyczące leku Besponsa opisano bardziej szczegółowo w sprawozdaniach oceniających lek.

Jakie są działania niepożądane i ograniczenia związane ze stosowaniem leku Besponsa

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Besponsa znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Besponsa u osób dorosłych (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 5 pacjentów) to: małopłytkowość (mała liczba płytek krwi), neutropenia i leukopenia (mała liczba krwinek białych), zakażenia, niedokrwistość (mała liczba krwinek czerwonych), zmęczenie, krwawienie, gorączka, nudności (mdłości), ból głowy, gorączka neutropeniczna (mała liczba krwinek białych z gorączką), ból brzucha, zwiększona aktywność enzymów wątrobowych zwanych transaminazami i gamma-glutamylotransferazą oraz hiperbilirubinemia (wysokie stężenie we krwi bilirubiny, produktu rozpadu krwinek czerwonych).

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Besponsa u dzieci (mogące wystąpić częściej niż u 3 na 10 pacjentów) to: małopłytkowość, gorączka, niedokrwistość, wymioty, neutropenia, zakażenia, krwawienie, leukopenia i nudności.

Niektóre działania niepożądane mogą być poważne. Najczęstsze u osób dorosłych (mogące wystąpić częściej niż u 2 na 100 pacjentów) to: zakażenia, gorączka neutropeniczna, krwotok, ból brzucha, gorączka, zmęczenie i choroba zarostowa żył wątrobowych / zespół niewydolności zatokowej wątroby (ang. *veno-occlusive liver disease/sinusoidal obstruction syndrome*, VOD/SOS, poważna choroba wątroby). Najczęstsze działania niepożądane u dzieci (mogące wystąpić częściej niż u 2 na 100 pacjentów) to: gorączka neutropeniczna, choroba zarostowa żył wątrobowych (VOD) i zakażenie.

Leku Besponsa nie wolno stosować u pacjentów z czynną VOD/SOS lub potwierdzoną ostrą VOD/SOS bądź z innymi ciężkimi czynnymi chorobami wątroby.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Besponsa w UE

Wykazano, że lek Besponsa jest skuteczniejszy niż inne powszechnie stosowane chemioterapeutyki w wywoływaniu odpowiedzi u osób dorosłych z ostrą białaczką limfoblastyczną wywodzącą się z komórek prekursorowych limfocytów B i umożliwieniu im poddania się przeszczepieniu komórek macierzystych prowadzącemu do wyleczenia. Wykazano również skuteczność leku u dzieci w wieku od 1. roku życia z ostrą białaczką limfoblastyczną wywodzącą się z komórek prekursorowych limfocytów B. W odniesieniu do bezpieczeństwa stosowania działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Besponsa są podobne jak w przypadku innych leków stosowanych w chemioterapii i zazwyczaj można je kontrolować poprzez zmniejszenie dawki lub przerwanie leczenia.

Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Besponsa przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Besponsa

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Besponsa w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Besponsa są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Besponsa są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Besponsa

Lek Besponsa otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 28 czerwca 2017 r.

Dalsze informacje dotyczące leku Besponsa, w tym ulotka dla pacjenta i sprawozdania oceniające, znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem:
ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/besponsa.

W celu uzyskania informacji na temat dostępności tego leku w danym kraju należy skontaktować się z [właściwym organem krajowym](#).

Data ostatniej aktualizacji: 04.2026.