



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Blincyto (*blinatumomab*)

Przegląd wiedzy na temat leku Blincyto i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Blincyto i w jakim celu się go stosuje

Blincyto to lek przeciwnowotworowy stosowany w leczeniu nowotworu krwi atakującego limfocyty B (rodzaj krwinek białych), zwanego ostrą białaczką limfoblastyczną (ang. *acute lymphoblastic leukaemia*, ALL) z komórek prekursorowych linii B. Lek stosuje się u osób dorosłych, u których na powierzchni komórek nowotworowych występuje białko o nazwie CD19 (nowotwór CD19-dodatni) i u których:

- występuje chromosom Philadelphia (Ph-dodatni), co oznacza, że w komórkach nowotworowych znajduje się wadliwy chromosom zwany chromosomem Philadelphia. Lek Blincyto stosuje się, jeżeli nowotwór nie zareagował na co najmniej dwa wcześniej stosowane leki znane jako inhibitory kinazy tyrozyny i nie ma innych możliwości leczenia;
- nie występuje chromosom Philadelphia (Ph-ujemny), co oznacza, że w komórkach nowotworowych nie znajduje się nieprawidłowy chromosom Philadelphia. Lek Blincyto jest stosowany u osób dorosłych, u których po wcześniejszym leczeniu nadal utrzymuje się niewielka liczba komórek nowotworowych (zwana chorobą resztkową).

Lek Blincyto stosuje się również u osób dorosłych z nowo zdiagnozowaną Ph-ujemną ALL, jeżeli na powierzchni komórek nowotworowych znajduje się białko o nazwie CD19 (CD19-dodatni). Lek stosuje się w ramach terapii konsolidującej (leczenia mającego na celu poprawę remisji).

Lek Blincyto stosuje się u dzieci w wieku od 1 miesiąca z Ph-ujemną ALL, CD19-dodatnią ALL wywodzącą się z komórek prekursorowych linii B. Lek stosuje się w przypadku, gdy:

- nie nastąpiła poprawa lub stwierdzono nawrót choroby po dwóch wcześniejszych terapiach bądź stwierdzono nawrót choroby po allogenicznym przeszczepie krwiotwórczych komórek macierzystych (zabieg, w którym szpik kostny pacjenta jest zastępowany komórkami macierzystymi dawcy w celu utworzenia nowego szpiku kostnego wytwarzającego zdrowe komórki),
- po raz pierwszy stwierdzono nawrót choroby i jest to nowotwór wysokiego ryzyka. Lek Blincyto jest stosowany w terapii konsolidującej.



Ze względu na to, że ALL jest chorobą rzadko występującą, w dniu 24 lipca 2009 r. lek Blincyto uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć [tutaj](#).

Substancją czynną zawartą w leku Blincyto jest blinatumomab.

Jak stosować lek Blincyto

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpocząć lekarz mający doświadczenie w leczeniu pacjentów z nowotworem krwi.

Lek Blincyto podawany jest we wlewie dożylnym (kroplówce). Dawka zależy od masy ciała pacjenta. Lek Blincyto podaje się w ciągłym wlewie w cyklu leczenia trwającym cztery tygodnie. Między poszczególnymi cyklami leczenia występują dwutygodniowe przerwy bez leczenia.

Liczba cykli leczenia zależy od rodzaju ALL z komórek prekursorowych linii B oraz odpowiedzi pacjenta na leczenie. Leczenie można przerwać lub zakończyć, jeżeli u pacjenta wystąpią określone działania niepożądane.

Przed rozpoczęciem podawania leku Blincyto zaleca się zastosowanie leków przeciwgorączkowych oraz leków przeciwdziałających reakcjom związanym z wlewem. Dodatkowo zaleca się chemioterapię dokanałową w celu zapobiegnięcia białaczce w układzie nerwowym.

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

Jak działa lek Blincyto

W ALL z komórek prekursorowych linii B niektóre komórki wytwarzają limfocyty B, które namnażają się zbyt szybko. Z czasem te wadliwe komórki krwi zastępują prawidłowe.

Blinatumomab, substancja czynna leku Blincyto, jest przeciwciałem, które zostało opracowane do przyłączania się do białka (CD19) występującego na powierzchni limfocytów B, w tym komórek białaczkowych. Blinatumomab wiąże się także z białkiem (CD3) występującym na powierzchni limfocytów T (inny rodzaj krwinek białych).

Lek Blincyto działa zatem jako „pomost” łączący limfocyty T i B, powodując uwalnianie przez limfocyty T substancji, które ostatecznie niszczą nowotworowe limfocyty B.

Korzyści ze stosowania leku Blincyto wykazane w badaniach

Lek Blincyto oceniano w dwóch badaniach głównych u osób dorosłych z ALL z komórek prekursorowych linii B, u których odnotowano nawrót choroby lub brak poprawy w wyniku leczenia. Pacjentom podawano lek Blincyto w maksymalnie pięciu cyklach leczenia. Leku Blincyto nie porównywano z żadnym innym leczeniem. Głównym kryterium oceny skuteczności był odsetek pacjentów, u których po dwóch cyklach leczenia nastąpiła poprawa, określona jako ustąpienie objawów ALL oraz całkowity lub częściowy powrót liczby krwinek do normy.

W pierwszym badaniu uczestniczyło 189 pacjentów z ALL z komórek prekursorowych linii B bez chromosomu Philadelphia. Poprawę stwierdzono u 43% (81 ze 189) pacjentów przyjmujących lek Blincyto. U większości pacjentów, u których odnotowano poprawę, nie stwierdzono obecności komórek nowotworowych. Do nawrotu choroby dochodziło przeciętnie po ok. sześciu miesiącach, dzięki czemu u pacjentów spełniających kryteria można było przeprowadzić przeszczep komórek macierzystych krwi.

W drugim badaniu udział wzięli pacjenci z ALL z komórek prekursorowych linii B z chromosomem Philadelphia, którzy byli wcześniej leczeni co najmniej dwoma inhibitorami kinazy tyrozynowej. Wyniki wykazały, że poprawa nastąpiła u 36% (16 z 45) pacjentów.

W trzecim badaniu uczestniczyły osoby dorosłe w wieku od 30 do 70 lat z nowo zdiagnozowaną ALL z komórek prekursorowych linii B bez chromosomu Philadelphia. W badaniu tym wykazano, że pacjenci, którym podawano lek Blincyto w ramach terapii konsolidującej, żyli dłużej niż pacjenci otrzymujący tylko terapię konsolidującą. Po terapii indukcyjnej (pierwsze leczenie mające na celu eliminację jak największej liczby komórek nowotworowych) i terapii intensyfikacyjnej (dodatkowe leczenie w przypadku zaniknięcia nowotworu po pierwszym leczeniu) 286 pacjentów, u których nie wystąpiły objawy nowotworu, otrzymało lek Blincyto wraz z terapią konsolidującą albo tylko terapię konsolidującą. Po upływie 5 lat przy życiu pozostawało około 82% pacjentów, którym podawano lek Blincyto w ramach terapii konsolidującej, w porównaniu z około 63% pacjentów, którym podawano tylko chemioterapię konsolidującą.

W badaniu z udziałem 70 dzieci w wieku od 1 roku życia z ALL z komórek prekursorowych linii B bez chromosomu Philadelphia stwierdzono, że zastosowanie leku Blincyto doprowadziło do ustąpienia choroby u 33% pacjentów.

W innym badaniu z udziałem 108 dzieci w wieku powyżej 28 dni z nawrotem ALL z komórek prekursorowych linii B bez chromosomu Philadelphia stwierdzono, że w przypadku stosowania leku Blincyto w ramach terapii konsolidującej u 33% pacjentów wystąpiły zdarzenia (takie jak nawroty po odpowiedzi na leczenie lub brak odpowiedzi), w porównaniu z 57% pacjentów poddawanych standardowej chemioterapii konsolidującej.

Lek Blincyto oceniano także w badaniu głównym z udziałem 116 pacjentów z chorobą resztkową. W badaniu tym leku Blincyto nie porównywano z żadną inną metodą leczenia. Wyniki wykazały, że u około 78% pacjentów po zastosowaniu leku Blincyto komórki nowotworowe nie były wykrywalne.

Ponadto dane wykazały, że po podaniu leku Blincyto dzieciom w wieku od 1. miesiąca do 1. roku życia stężenie leku we krwi było podobne do stężenia obserwowanego u starszych dzieci i osób dorosłych. Firma przedstawiła również dane z piśmiennictwa dotyczące stosowania leku Blincyto u dzieci w wieku od 1. miesiąca do poniżej 1. roku życia z ALL z komórek prekursorowych linii B z obecnością komórek CD19, które uzasadniały jego stosowanie w tej grupie pacjentów.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Blincyto

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

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Blincyto (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: zakażenia, gorączka, reakcje związane z wlewem (gorączka, zmiany ciśnienia krwi i wysypka), ból głowy, gorączka neutropeniczna (niski poziom białych krwinek zwanych neutrofilami z gorączką), zaparcia, nudności (mdłości), biegunka, wymioty, niedokrwistość (niski poziom czerwonych krwinek), obrzęk (obrzeczenie spowodowane zatrzymaniem płynów), neutropenia (niski poziom neutrofili), leukopenia (niski poziom białych krwinek), małopłytkowość (niski poziom płytek krwi), zmiany w wynikach badań czynności wątroby, drżenia (dreszcze), bóle pleców, dreszcze, niskie ciśnienie krwi, niskie stężenie immunoglobulin (przeciwciała), zespół uwalniania cytokin (zagrożający życiu stan, który może powodować gorączkę, wymioty, duszność, ból i niskie ciśnienie krwi), tachykardia (szybkie bicie serca), bezsenność (problemy ze snem), ból rąk i nóg, ból brzucha, kaszel i wysypka.

Najpoważniejszymi działaniami niepożądanymi były zakażenia, neutropenia z gorączką lub bez gorączki, epizody neurologiczne (np. dezorientacja, drżenie, zawroty głowy, drętwienie lub mrowienie), zespół uwalniania cytokin i zespół rozpadu guza (zagrożające życiu powikłanie spowodowane rozpadem komórek nowotworowych).

Leku Blincyto nie wolno podawać kobietom karmiącym piersią.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Blincyto w UE

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Blincyto przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE. Agencja uznała, że lek Blincyto jest korzystny w przypadku osób dorosłych i dzieci z grup wysokiego ryzyka z ostrą białaczką limfoblastyczną z komórek prekursorowych linii B bez chromosomu Philadelphia, dla których dostępnych jest niewiele możliwości leczenia i w przypadku których rokowania są na ogół niepomyślne. Lek przynosi również korzyści u osób dorosłych z Ph-ujemną, CD19-dodatnią ALL wywodzącą się z komórek prekursorowych linii B, u których istnieje wysokie ryzyko nawrotu nowotworu w przypadku stosowania leku w ramach terapii konsolidującej. Dane na temat korzyści ze stosowania leku Blincyto są jednak ograniczone u pacjentów w wieku poniżej 30 lat z ALL z komórek prekursorowych linii B, w tym u dzieci, u których istnieje ryzyko nawrotu nowotworu. Lek Blincyto jest również skuteczny u osób dorosłych z ALL z komórek prekursorowych linii B z chromosomem Philadelphia, u których nie wystąpiła odpowiedź na wcześniejsze stosowanie leków zwanych inhibitorami kinazy tyrozynowej.

Profil bezpieczeństwa leku Blincyto uznano za możliwy do zaakceptowania, pod warunkiem przestrzegania zaleceń dotyczących stosowania leku.

Lek Blincyto uzyskał pierwotnie warunkowe dopuszczenie do obrotu. Pozwolenie zmieniono na standardowe pozwolenie, ponieważ firma przedstawiła dodatkowe dane wymagane przez Agencję.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Blincyto

Firma, która wprowadza lek Blincyto do obrotu, udostępni dane z dwóch badań oceniających bezpieczeństwo i zastosowanie leku Blincyto w praktyce klinicznej, w tym u dzieci.

Ponadto firma udostępni pacjentom i personelowi medycznemu materiały edukacyjne informujące, w jaki sposób należy stosować lek Blincyto oraz jak zmniejszyć ryzyko związane ze stosowaniem leku. Pacjenci otrzymają także kartę ostrzegawczą.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Blincyto w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

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

Inne informacje dotyczące leku Blincyto

Lek Blincyto otrzymał warunkowe pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 23 listopada 2015 r. W dniu 18 czerwca 2018 r. zostało ono zastąpione przez pełne pozwolenie na dopuszczenie do obrotu.

Dalsze informacje na temat leku Blincyto znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem:
ema.europa.eu/medicines/Human/EPAR/blincyto.

Data ostatniej aktualizacji: 01.2025.