



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. december 2022  
EMA/900390/2022  
EMA/H/C/005499

## Afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Omblastys (omburtamab ( $^{131}\text{I}$ ))

Det Europæiske Lægemiddelagentur har anbefalet afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Omblastys, et lægemiddel til behandling af neuroblastom, som er en sjælden type kræft, der udgår fra umodne nerveceller.

Agenturet fremsatte sin udtalelse den 15. december 2022. Y-mAbs Therapeutics A/S, den virksomhed, der havde ansøgt om tilladelse, kan anmode om, at udtalelsen tages op til fornyet overvejelse inden for 15 dage efter modtagelsen af udtalelsen.

### Hvad er Omblastys, og hvad forventedes det anvendt til?

Omblastys var beregnet til behandling af neuroblastom hos patienter, hvis sygdom havde spredt sig til hjernen, rygmærven eller leptomeninges (tynde vævslag, der dækker og beskytter hjernen og rygmærven), og som tidligere var blevet behandlet.

Omblastys er et radioaktivt lægemiddel (et lægemiddel med små mængder af et radioaktivt stof), der indeholder det aktive stof omburtamab ( $^{131}\text{I}$ ) og skulle markedsføres som en infusionsvæske, opløsning (drop), der gives i eksisterende væskefyldte rum i hjernen.

Omblastys blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 27. februar 2017 til behandling af neuroblastom. Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839).

### Hvordan virker Omblastys?

Det aktive stof i Omblastys, omburtamab ( $^{131}\text{I}$ ), er et monoklonalt antistof (en type protein), der er opbygget til at genkende og binde sig til et protein kaldet CD276, som findes på overfladen af neuroblastomceller, men ikke på normale celler. Dette monoklonale antistof er forbundet med radioaktivt jod ( $^{131}\text{I}$ ), som danner lav stråling.

Når lægemidlerne binder sig til CD276, forventes strålingen fra  $^{131}\text{I}$  at beskadige DNA'et i kræftcellerne, hvilket medfører, at kræftcellerne dør.

---

**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](https://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](https://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?**

Virksomheden fremlagde resultaterne af et hovedstudie blandt 109 børn med neuroblastom, hvis sygdom havde spredt sig til enten hjernen eller rygmærken. Patienterne i studiet fik Omblastys, og resultaterne blev sammenlignet med resultaterne hos en ekstern kontrolgruppe (andre patienter med neuroblastom, som ikke deltog i studiet, og som havde fået andre behandlinger).

Behandlingens virkning blev hovedsagelig bedømt på den andel af patienterne, der stadig var i live efter 3 år.

## **Hvad var hovedårsagerne til at give afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse?**

Agenturet fandt, at det ikke var muligt at drage konklusioner om virkningen af Omblastys. Da hovedstudiet ikke omfattede et randomiseret sammenligningsstof, var det ikke muligt at fastlægge en behandlingseffekt. Det kunne desuden ikke fastslås, om patienterne i den eksterne kontrolgruppe, som virksomheden havde valgt som reference, havde en underliggende prognose svarende til de patienter, der blev behandlet med Omblastys i studiet.

Agenturet var derfor af den opfattelse, at benefit/risk-forholdet for Omblastys til behandling af neuroblastom ikke kunne fastslås. Agenturet anbefalede derfor afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse.

## **Har afslaget konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske forsøg?**

Virksomheden har informeret agenturet om, at der ikke er nogen konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske forsøg med Omblastys.

Hvis du deltager i et klinisk forsøg og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.