



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2021. szeptember 17.  
EMA/508191/2021  
EMA/H/C/005730

## Az Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services-re (oportuzumab monatox) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

A DLRC Pharma Services visszavonta a húgyhólyagdaganat kezelésére és kiújulásának megelőzésére, valamint a papilláris daganatok kiújulásának megelőzésére szánt Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services-re vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelmét.

A vállalat 2021. augusztus 20-án vonta vissza a kérelmet.

### **Milyen típusú gyógyszer az Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services és milyen alkalmazásra szánták?**

Az Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services-t a húgyhólyagdaganat két típusának kezelésére fejlesztették ki. A gyógyszert a húgyhólyag in-situ karcinómájának (CIS) kezelésére és kiújulásának megelőzésére, valamint a high-grade Ta és/vagy T1 papilláris daganatok kiújulásának megelőzésére szánták. Olyan betegeknél tervezték alkalmazni, akik a daganat eltávolítását célzó műtéten estek át (transzuretrális reszekció), és akiknek a daganata nem reagált a BCG immunterápiára (a daganatellenes kezelések egy típusa).

Az Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services hatóanyaga az oportuzumab monatox, és a gyógyszert közvetlenül a húgyhólyagba kellett volna beinjektálni.

### **Hogyan fejtí ki hatását az Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services?**

Az Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services egy antitest (egy fehérjefajta) fragmentumát tartalmazza, amelyet egy citotoxikus (sejtölő) anyaghoz kapcsolnak. Az antitestet úgy alakították ki, hogy a daganatos sejteken található célponthoz (EpCAM) kötődjön, lehetővé téve, hogy a gyógyszer bejusson a daganatos sejtbe. A gyógyszer bejutását követően a citotoxikus anyag várhatóan elpusztítja a sejtet. Arra is számítottak, hogy a gyógyszer immunválaszt vált ki a daganatos sejtekkel szemben.

---

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

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

An agency of the European Union



## **Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?**

A vállalat egy olyan vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyben 133, húgyhólyag in-situ karcinómában vagy (high-grade Ta vagy bármely fokozatú T1) papilláris daganatokban szenvedő beteg vett részt, akiknél a daganat nem reagált a BCG immunterápiára. A hatásosság fő mutatója a daganatos sejtek hiánya (teljes válasz) volt 3 hónap után, valamint a válasz időtartama. Az Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services-t nem hasonlították össze más gyógyszerekkel vagy placebóval (hatóanyag nélküli kezelés).

## **A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?**

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy az Európai Gyógyszerügynökség már értékelte a vállalat által eredetileg benyújtott információt, és kidolgozott egy kérdéslistát. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt a kérdésekre.

## **Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?**

A visszavonás időpontjában az adatok áttekintése alapján az Ügynökség részéről komoly aggályok merültek fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy az Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services alkalmazása nem engedélyezhető a húgyhólyag in-situ karcinóma kezelésére és kiújulásának megelőzésére, illetve a papilláris daganatok kiújulásának megelőzésére.

Az Ügynökségnek aggályai merültek fel a gyógyszer minőségével, biztonságosságával és hatásosságával kapcsolatban. A minőség tekintetében a gyógyszer gyártása során számos folyamatot alkalmaztak, ami kérdéseket vetett fel a gyógyszer aktivitásának mérésével kapcsolatban a különböző alkalmazott folyamatok során. További információkra volt szükség a helyes gyártási gyakorlatnak való megfelelésről és a lehetséges szennyeződések jelenlétéről is. A hatékonyság tekintetében az Ügynökség úgy vélte, hogy a fő vizsgálatban részt vevő betegcsoport nem volt összeegyeztethető a célzott indikációval. Emellett a vizsgálat alatt jelentős mértékben módosították a vizsgálat kialakítását, ami kérdéseket vetett fel az eredmények értelmezésével kapcsolatban, és a hatásosság kiválasztott fő mutatóit sem tartották megfelelőnek. Ezenfelül kétségek merültek fel a hatékonyságra vonatkozóan jelentett eredmények klinikai relevanciáját illetően. Végül a biztonságosság tekintetében egyes adatok ellentmondásosnak tűntek, és további magyarázatot igényeltek.

Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség részéről komoly aggályok merültek fel az adatok megbízhatóságát illetően, és arra a következtetésre jutott, hogy a vállalat által benyújtott adatok alapján a gyógyszer forgalmazása nem engedélyezhető.

## **Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?**

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy azt követően vonta vissza a kérelmét, hogy az Egyesült Államok Élelmiszer- és Gyógyszerügyi Hatóságától (FDA) visszajelzést kapott arról, hogy az Egyesült Államokban az oportuzumab monatox vonatkozásában kérelmet nyújtottak be.

## **Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?**

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a visszavonásnak az Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services-zel végzett klinikai vizsgálatokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot a klinikai vizsgálatban részt vevő kezelőorvosával.