



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Az Omblastys-ra (omburtamab (^{131}I) vonatkozó forgalombahozatali engedély elutasítása

Az Európai Gyógyszerügynökség az éretlen idegsejtekből kialakuló, ritka daganatos betegség, a neuroblasztóma kezelésére szánt Omblastys forgalombahozatali engedélyének elutasítását javasolta.

Az Ügynökség 2022. december 15-én adta ki véleményét. Az Y-mAbs Therapeutics A/S, az engedély iránti kérelmet benyújtó vállalat a vélemény kézhezvételét követő 15 napon belül kérheti a vélemény felülvizsgálatát.

Milyen típusú gyógyszer az Omblastys és milyen alkalmazásra szánták?

Az Omblastys-t neuroblasztóma kezelésére szánták azoknál a betegeknél, akiknek a betegsége áttért az agyra, a gerincvelőre vagy a leptomeningeális szövetekre (az agyat és a gerincvelőt borító és védő vékony szövetrétegek), és akiket korábban már kezeltek.

Az Omblastys egy radiofarmakon (kis mennyiségű radioaktív anyagot tartalmazó gyógyszer), amely hatóanyagként omburtamabot (^{131}I) tartalmaz, és oldatos infúzió formájában lett volna kapható, amelyet az agy folyadékkal már feltöltött részébe kellett volna beadni.

Az Omblastys-t 2017. február 27-én a neuroblasztóma kezelése tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerré minősítésről további információ az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839.

Hogyan fejti ki hatását az Omblastys?

Az Omblastys hatóanyaga, az omburtamab (^{131}I) egy monoklonális antitest (fehérjetípus), amelyet úgy alakítottak ki, hogy felismerje a neuroblasztómás sejtek felszínén megtalálható, de az egészséges sejtek felszínéről hiányzó CD276 nevű fehérjét, és ahhoz kötődjön. Ez a monoklonális antitest radioaktív jódhoz (^{131}I) kapcsolódik, amely alacsony szintű sugárzást bocsát ki.

Amikor a gyógyszerek a CD276-hoz kötődnek, a ^{131}I -ből származó sugárzás várhatóan károsítja a daganatos sejtek DNS-ét, ami a daganatos sejtek pusztulását eredményezi.

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



Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyet 109, neuroblasztómában szenvedő gyermek részvételével végeztek, akiknél a betegség áttért az agyra vagy a gerincvelőre. A vizsgálatban részt vevő betegek Omblastys-t kaptak, és az eredményeket egy külső kontrollcsoport (olyan, neuroblasztómában szenvedő betegek, akik nem vettek részt a vizsgálatban, és más kezelésben részesültek) eredményeivel hasonlították össze .

A hatásosság fő mutatója azon betegek aránya volt, akik 3 év elteltével még életben voltak.

Melyek voltak a forgalombahozatali engedély elutasításának fő okai?

Az Ügynökség úgy ítélte meg, hogy az Omblastys hatékonyságára vonatkozóan nem lehetett következtetéseket levonni. Mivel a fő vizsgálatban nem alkalmaztak randomizált összehasonlító készítményt, nem lehetett meghatározni a kezelés hatását. Továbbá nem lehetett biztosan megállapítani, hogy a vállalat által referenciaként kiválasztott külső kontrollcsoportban lévő betegek prognózisa hasonló volt-e a vizsgálatban Omblastys-szal kezelt betegekéhez.

Ezért az Ügynökség azon a véleményen volt, hogy a neuroblasztóma kezelésében az Omblastys előny-kockázat profilja nem állapítható meg. Az Ügynökség ezért a forgalombahozatali engedély elutasítását javasolta.

Milyen következményekkel jár az elutasítás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy az elutasításnak az Omblastys-szal 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 kezelőorvosával.