



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17 settembre 2021  
EMA/508191/2021  
EMA/H/C/005730

## Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services (oportuzumab monatox)

DLRC Pharma Services ha ritirato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services, per il trattamento e la prevenzione della recidiva del cancro della vescica e la prevenzione della recidiva dei tumori papillari.

La ditta ha ritirato la domanda il 20 agosto 2021.

### **Che cos'è e per che cosa avrebbe dovuto essere usato Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services?**

Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services è stato sviluppato come medicinale per due tipi di cancro della vescica. Avrebbe dovuto essere usato per il trattamento e la prevenzione della recidiva del carcinoma in situ (CIS) della vescica urinaria e per la prevenzione della recidiva di tumori papillari di alto grado Ta e/o T1. Avrebbe dovuto essere usato in pazienti sottoposti a intervento chirurgico (resezione transuretrale) per l'asportazione del tumore che non aveva risposto all'immunoterapia con BCG (un tipo di trattamento antitumorale).

Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services contiene il principio attivo oportuzumab monatox e avrebbe dovuto essere iniettato direttamente nella vescica.

### **Come agisce Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services?**

Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services è costituito da un frammento di un anticorpo (un tipo di proteina) legato a una sostanza citotossica (che distrugge le cellule). L'anticorpo è stato concepito per legarsi a un bersaglio presente sulle cellule tumorali (EpCAM), consentendo al medicinale di penetrarvi, dopodiché è atteso che la sostanza citotossica distrugga tali cellule. Il medicinale avrebbe inoltre dovuto innescare una risposta immunitaria contro le suddette cellule tumorali.

### **Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?**

La ditta ha presentato i risultati di uno studio condotto su 133 pazienti affetti da CIS della vescica urinaria o da tumori papillari (Ta di alto grado o T1 di qualsiasi grado) nei quali il cancro non aveva

---

**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



risposto all'immunoterapia con BCG. I principali parametri dell'efficacia erano l'assenza di segni di cellule tumorali (risposta completa) dopo 3 mesi e la durata di questa risposta. Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services non è stato confrontato con altri medicinali o placebo (trattamento fittizio).

## **A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?**

La domanda è stata ritirata dopo che l'Agenzia europea per i medicinali aveva valutato le informazioni iniziali fornite dalla ditta e aveva formulato una serie di domande, alle quali al momento del ritiro la ditta non aveva risposto.

## **Qual era la raccomandazione dell'Agenzia a quel punto?**

In base all'esame dei dati, al momento del ritiro della domanda l'Agenzia nutriva seri dubbi ed era provvisoriamente del parere che Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services non potesse essere autorizzato per il trattamento e la prevenzione della recidiva del carcinoma in situ della vescica urinaria o per la prevenzione della recidiva dei tumori papillari.

L'Agenzia nutriva dubbi in merito alla qualità, alla sicurezza e all'efficacia del medicinale. In termini di qualità, per la produzione del medicinale erano stati utilizzati diversi processi, nei quali era rimasto dubbio il livello di attività del medicinale. Erano inoltre necessarie ulteriori informazioni sulla conformità alle buone prassi di fabbricazione e sulla presenza di potenziali impurità. In termini di efficacia, l'Agenzia ha ritenuto che la popolazione di pazienti oggetto dello studio principale non fosse compatibile con l'indicazione prevista. Inoltre, erano state apportate importanti modifiche al disegno dello studio mentre era in corso, sollevando problemi di interpretazione dei risultati, e la scelta delle principali misure dell'efficacia non è stata ritenuta adeguata. Per di più, vi erano dubbi sulla rilevanza clinica dei risultati riferiti in merito all'efficacia. Infine, in termini di sicurezza, alcuni dati sembravano contraddittori e dovevano essere ulteriormente illustrati.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia aveva notevoli dubbi in merito all'affidabilità dei dati e ha concluso che il medicinale non poteva essere autorizzato sulla base dei dati presentati dalla ditta.

## **Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?**

Nella [lettera](#) con cui ha notificato all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato di aver ritirato la domanda in seguito al riscontro ricevuto dall'FDA statunitense in merito a una domanda presentata negli Stati Uniti relativa a oportuzumab monatox.

## **Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici?**

La ditta ha informato l'Agenzia che il ritiro non avrà alcuna conseguenza per i pazienti inseriti in studi clinici con Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services.

Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico dello studio.