



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2022 m. gruodžio 16 d.  
EMA/900390/2022  
EMA/H/C/005499

## Atsisakymas suteikti Omblastys (omburtamabo ( $^{131}\text{I}$ )) registracijos pažymėjimą

Europos vaistų agentūra rekomendavo nesuteikti Omblastys – neuroblastomai (retam vėžiui, kuris formuojasi iš nesubrendusių nervinių ląstelių) gydyti skirto vaisto – registracijos pažymėjimo.

Savo nuomonę Agentūra paskelbė 2022 m. gruodžio 15 d. Per 15 dienų nuo nuomonės gavimo paraišką gauti registracijos pažymėjimą pateikusi bendrovė „Y-mAbs Therapeutics A/S“ gali pareikalausti pakartotinai apsvarstyti priimtą nuomonę.

### Kas yra Omblastys ir kokiais atvejais jį buvo numatyta vartoti?

Omblastys buvo numatyta skirti neuroblastomai gydyti tiems pacientams, kurių liga išplitusi į galvos ir stuburo smegenis arba smegenų dangalus ir kurie jau yra gydyti nuo šios ligos.

Omblastys – tai radioaktyvusis preparatas (vaistas, kurio sudėtyje yra nedidelis kiekis radioaktyvios medžiagos), kurio veikioji medžiaga YRA omburtamabas ( $^{131}\text{I}$ ). Šį vaistą buvo numatyta tiekti infuzinio (lašinamo) tirpalo, leidžiamo į galvos smegenų skysčio ertmę, forma.

2017 m. vasario 27 d. Omblastys priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal neuroblastomos gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite Agentūros tinklalapyje adresu:  
[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839).

### Kaip veikia Omblastys?

Omblastys veikioji medžiaga omburtamabas ( $^{131}\text{I}$ ) yra monokloninis antikūnas (baltymo rūšis), kuri atpažįsta baltymą CD276, kurio yra neuroblastomos ląstelių paviršiuje, bet nėra nevėžinių ląstelių paviršiuje, ir prie jo prisijungia. Šis monokloninis antikūnas yra sujungtas su radioaktyviuoju jodu ( $^{131}\text{I}$ ), kuris skleidžia nedidelį kiekį spinduliuotės.

Šioms medžiagoms prisijungus prie CD276,  $^{131}\text{I}$  skleidžiama spinduliuotė turėtų pažeisti vėžinių ląstelių DNR ir sukelti vėžinių ląstelių žūtį.

**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



## **Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?**

Bendrovė pateikė vieno pagrindinio tyrimo, atlikto su 109 į galvos arba stuburo smegenis išplitusia neuroblastoma sergančiais vaikais, rezultatus. Šiame tyrime pacientai buvo gydomi Omblastys ir tyrimo rezultatai buvo lyginami su išorės kontrolinės grupės pacientų (kitų neuroblastoma sergančių, bet tyrime nedalyvavusių pacientų, kurie buvo gydomi kitais vaistais) rezultatais.

Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientų, kurie po 3 metų vis dar buvo gyvi, dalis.

## **Kokios buvo pagrindinės priežastys, dėl kurių rekomenduota neišduoti registracijos pažymėjimo?**

Agentūra laikėsi nuomonės, kad neįmanoma padaryti išvados, jog Omblastys yra veiksmingas. Kadangi pagrindiniame tyrime nebuvo naudojamas atsitiktinės atrankos būdu parinktas lyginamasis vaistas, gydymo poveikio nebuvo galima nustatyti. Be to, nebuvo galima nustatyti, ar pacientų, kuriuos bendrovė palyginimo tikslais atrinko į išorės kontrolinę grupę, gydymo prognozės buvo panašios į tyrime dalyvavusių Omblastys gydomų pacientų.

Todėl Agentūra laikėsi nuomonės, kad neuroblastomai gydyti skiriamo Omblastys naudos ir rizikos santykis nenustatytas ir rekomendavo registracijos pažymėjimo neišduoti.

## **Ar šis atsisakymas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose?**

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, šiuo metu dalyvaujantiems Omblastys klinikiniuose tyrimuose.

Jei dalyvaujate klinikiniame tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie jums taikomą gydymą, pasikalbėkite su savo klinikinio tyrimo gydytoju.