



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 decembrie 2022
EMA/900390/2022
EMA/H/C/005499

Refuzul autorizației de punere pe piață pentru Omblastys [omburtamab (^{131}I)]

Agenția Europeană pentru Medicamente a recomandat refuzul autorizației de punere pe piață pentru Omblastys, un medicament destinat tratamentului neuroblastomului, un tip rar de cancer care se formează din celulele nervoase imature.

Agenția a emis avizul la 15 decembrie 2022. Y-mAbs Therapeutics A/S, compania care a solicitat autorizația, poate solicita reexaminarea avizului în decurs de 15 zile de la primirea acestuia.

Ce este Omblastys și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Omblastys era destinat tratamentului neuroblastomului la pacienți la care boala se răspândise la creier, măduva spinării sau leptomeninge (straturi subțiri de țesut care acoperă și protejează creierul și măduva spinării) și care fuseseră tratați anterior.

Omblastys este un produs radiofarmaceutic (un medicament cu cantități mici de substanță radioactivă) care conține substanța activă omburtamab (^{131}I) și urma să fie disponibil sub formă de soluție perfuzabilă (picurare în venă), care se administrează în spațiul umplut cu lichid, din creier.

Omblastys a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 27 februarie 2017 pentru tratamentul neuroblastomului. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839.

Cum acționează Omblastys?

Substanța activă din Omblastys, omburtamabul (^{131}I), este un anticorp monoclonal (un tip de proteină) conceput să recunoască și să se lege de o proteină numită CD276, care este prezentă pe suprafața celulelor de neuroblastom, dar nu și pe cea a celulelor normale. Acest anticorp monoclonal este legat de iodul radioactiv (^{131}I), care emite radiații slabe.

Când medicamentele se leagă de CD276, se preconizează că radiațiile emise de ^{131}I vor deteriora ADN-ul din celulele canceroase, ducând la moartea lor.

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



Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat rezultatele unui studiu principal efectuat la 109 copii și adolescenți cu neuroblastom, la care boala se răspândise fie la creier, fie la măduva spinării. Pacienților din studiu li s-a administrat Omblastys, iar rezultatele au fost comparate cu cele ale unui grup de control extern (alți pacienți cu neuroblastom care nu participau la studiu și care primiseră alte tratamente).

Principala măsură a eficacității a fost procentul de pacienți care erau încă în viață după 3 ani.

Care au fost principalele motive pentru refuzul autorizației de punere pe piață?

Agenția a considerat că nu se poate formula o concluzie cu privire la eficacitatea Omblastys. Întrucât studiul principal nu avea un comparator randomizat, nu s-a putut determina un efect al tratamentului. În plus, nu s-a putut stabili că pacienții din grupul de control extern pe care compania i-a selectat pentru referință aveau un prognostic subiacent similar cu cel al pacienților tratați cu Omblastys în cadrul studiului.

Prin urmare, agenția a considerat că raportul beneficiu-risc pentru Omblastys în tratamentul neuroblastomului nu poate fi stabilit. De aceea, agenția a recomandat refuzul autorizației de punere pe piață.

Refuzul afectează pacienții din studii clinice?

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții aflați în studii clinice cu Omblastys.

Dacă participați la un studiu clinic și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului din cadrul studiului respectiv.