



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Omblastys [omburtamab (^{131}I)]

Európska agentúra pre lieky odporučila zamietnuť povolenie na uvedenie na trh pre liek Omblastys, liek určený na liečbu neuroblastómu, zriedkavej rakoviny, ktorá vzniká z nezrelých nervových buniek.

Agentúra vydala svoje stanovisko 15. decembra 2022. Spoločnosť Y-mAbs Therapeutics A/S, ktorá požiadala o povolenie, môže požiadať o opätovné preskúmanie stanoviska do 15 dní od prijatia stanoviska.

Čo je liek Omblastys a na čo sa mal používať?

Liek Omblastys bol určený na liečbu neuroblastómu u pacientov, ktorých ochorenie sa rozšírilo do mozgu, miechy alebo leptomeningov (tenkých vrstiev tkaniva, ktoré pokrývajú a chránia mozog a miechu) a ktorí boli predtým liečení.

Omblastys je rádiofarmakum (liek s malým množstvom rádioaktívnej látky), ktoré obsahuje liečivo omburtamab (^{131}I) a malo byť dostupné vo forme infúzneho roztoku (na kvapkanie), ktorý sa podáva do existujúceho priestoru v mozgu vyplneného tekutinou.

Liek Omblastys bol 27. februára 2017 označený za liek na ojedinelé ochorenia na liečbu neuroblastómu. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na ojedinelé ochorenia sa nachádza na webovom sídle agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839.

Akým spôsobom liek Omblastys účinkuje?

Liečivo lieku Omblastys, omburtamab (^{131}I), je monoklonálna protilátka (druh proteínu) vytvorená tak, aby rozpoznala proteín s názvom CD276, ktorý sa nachádza na povrchu buniek neuroblastómu, ale nie na povrchu normálnych buniek, a naviazala sa naň. Táto monoklonálna protilátka je spojená s rádioaktívnym jódom (^{131}I), ktorý produkuje nízke žiarenie.

Keď sa lieky viažu na CD276, predpokladá sa, že žiarenie z ^{131}I poškodí DNA v rakovinových bunkách, čo povedie k smrti rakovinových buniek.

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



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky z jednej hlavnej štúdie, na ktorej sa zúčastnilo 109 detí s neuroblastómom, u ktorých sa ochorenie rozšírilo buď do mozgu alebo miechy. Pacientom v štúdiu bol podávaný liek Omblastys a výsledky sa porovnávali s výsledkami externej kontrolnej skupiny (iní pacienti s neuroblastómom, ktorí neboli v štúdiu a ktorí podstúpili iné liečby).

Hlavným meradlom účinnosti bol pomer pacientov, ktorí po 3 rokoch stále žili.

Aké boli hlavné dôvody zamietnutia povolenia na uvedenie na trh?

Agentúra usúdila, že nie je možné vyvodiť záver o účinnosti lieku Omblastys. Keďže hlavná štúdia nemala randomizovaný porovnávací liek, nebolo možné určiť účinok liečby. Okrem toho nebolo možné zistiť, či pacienti v externej kontrolnej skupine, ktorých spoločnosť vybrala ako referenciu, mali podobnú základnú prognózu ako pacienti liečení liekom Omblastys v štúdiu.

Agentúra preto dospela k názoru, že pomer prínosov a rizík lieku Omblastys pri liečbe neuroblastómu nebolo možné stanoviť. Agentúra preto odporučila zamietnutie povolenia na uvedenie na trh.

Má zamietnutie žiadosti dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach?

Spoločnosť agentúru informovala, že pre pacientov používajúcich liek Omblastys, ktorí sa v súčasnosti zúčastňujú na klinických skúškach, nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak ste však účastníkom klinického skúšania a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.