



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Omblastys (omburtamab (^{131}I))

Evropska agencija za zdravila je priporočila zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Omblastys, namenjenim zdravljenju nevroblastoma, redke vrste raka, ki nastaja iz nezrelih živčnih celic.

Agencija je mnenje izdala 15. decembra 2022. Podjetje Y-mAbs Therapeutics A/S, ki je predložilo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom, lahko zahteva ponovno presojo tega mnenja v 15 dneh od njegovega prejema.

Kaj je zdravilo Omblastys in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Omblastys je bilo namenjeno za zdravljenje nevroblastoma pri bolnikih, pri katerih se je bolezen razširila na možgane, hrbtenjačo ali leptomeninge (tanke plasti tkiva, ki prekriva in ščiti možgane in hrbtenjačo) in ki so že bili predhodno zdravljeni.

Zdravilo Omblastys je radiofarmak (zdravilo z majhnimi količinami radioaktivne snovi), ki vsebuje učinkovino omburtamab (^{131}I) in naj bi bilo na voljo v obliki raztopine za infundiranje (kapalne infuzije) v obstoječi, s tekočino napolnjeni prostor v možganih.

Zdravilo Omblastys je bilo 27. februarja 2017 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje nevroblastoma. Več informacij o določitvi zdravila sirote je voljo na spletišču agencije: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839.

Kako zdravilo Omblastys deluje?

Učinkovina v zdravilu Omblastys, omburtamab (^{131}I), je monoklonsko protitelo (vrsta beljakovine), ki je bilo zasnovano tako, da prepozna beljakovino, imenovano CD276, ki je prisotna na površini nevroblastomskih, ne pa normalnih celic. To monoklonsko protitelo je spojeno z radioaktivnim jodom (^{131}I), ki oddaja nizko raven sevanja.

Ko se zdravilo pripoji na beljakovino CD276, naj bi sevanje ^{131}I poškodovalo DNK v rakavih celicah, kar naj bi povzročilo njihovo odmrtnje.

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



Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predložilo rezultate ene glavne študije, izvedene pri 109 otrocih z nevroblastomom, pri katerih se je bolezen razširila bodisi na možgane bodisi na hrbtenjačo. Bolniki v študiji so prejeli zdravilo Omblastys, njihove rezultate pa so primerjali z rezultati zunanje kontrolne skupine (drugih bolnikov z nevroblastomom, ki niso sodelovali v tej študiji in so prejeli druga zdravila).

Glavno merilo učinkovitosti je bil delež bolnikov, ki so po treh letih še živeli.

Kateri so bili glavni razlogi za zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom?

Agencija je menila, da ni mogoče sklepati o učinkovitosti zdravila Omblastys. Ker glavna študija ni imela randomizirane primerjalne analize, ni bilo mogoče opredeliti učinka zdravljenja. Poleg tega ni bilo mogoče potrditi, da imajo bolniki v zunanji kontrolni skupini, ki jih je podjetje izbralo za primerjavo, podobno osnovno prognozo kot bolniki, ki so se v študiji zdravili z zdravilom Omblastys.

Zato je agencija menila, da razmerja med koristmi in tveganji zdravila Omblastys pri zdravljenju nevroblastoma ni mogoče določiti, in je priporočila zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom.

Ali ta zavrnitev vpliva na bolnike v kliničnih preskušanjih?

Podjetje je agencijo obvestilo, da zavrnitev nima nobenih posledic za bolnike, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih zdravila Omblastys.

Če ste vključeni v klinično preskušanje in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki vodi klinično preskušanje.