



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zamítnutí registrace přípravku Omblastys (omburtamab značený jodem-(<sup>131</sup>I))

Evropská agentura pro léčivé přípravky doporučila zamítnout registraci přípravku Omblastys určeného k léčbě neuroblastomu, což je vzácné nádorové onemocnění, které vzniká z nezralých nervových buněk.

Agentura vydala své stanovisko dne 15. prosince 2022. Společnost Y-mAbs Therapeutics A/S, která o registraci požádala, může do 15 dnů od obdržení stanoviska požádat o jeho přezkoumání.

### Co je přípravek Omblastys a k čemu měl být používán?

Přípravek Omblastys byl určen k léčbě neuroblastomu u pacientů, kteří byli dříve léčeni a jejichž onemocnění se rozšířilo do mozku, míchy nebo leptomeningů (měkkých mozkových plen, což jsou tenké vrstvy tkáně, které pokrývají a chrání mozek a míchu).

Přípravek Omblastys je radiofarmakum (léčivý přípravek s malým množstvím radioaktivní látky), které obsahuje léčivou látku omburtamab značený jodem-(<sup>131</sup>I). Měl být k dispozici ve formě infuzního roztoku (kapání), který se podává do mozku do prostoru, který je vyplněn tekutinou.

Přípravek Omblastys byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 27. února 2017. Přípravek měl být určen k léčbě neuroblastomu. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839).

### Jak přípravek Omblastys působí?

Léčivá látka v přípravku Omblastys, omburtamab značený jodem-(<sup>131</sup>I), je monoklonální protilátka (typ bílkoviny), která byla vyvinuta tak, aby rozpoznala bílkovinu zvanou CD276 nacházející se na povrchu buněk neuroblastomu, nikoli však normálních buněk, a navázala se na ni. Tato monoklonální protilátka se naváže na radioaktivní jod-(<sup>131</sup>I), který produkuje nízkourovňové záření.

Očekává se, že když se léčivo naváže na bílkovinu CD276, záření jodu-<sup>131</sup>I poškodí DNA nádorových buněk, což vede k jejich odumírání.

**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



## **Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?**

Společnost předložila výsledky jedné hlavní studie, do které bylo zařazeno 109 dětí s neuroblastomem, jejichž onemocnění se rozšířilo buď do mozku, nebo do míchy. Pacientům zařazeným do studie byl podáván přípravek Omblastys. Výsledky byly porovnávány s výsledky externí kontrolní skupiny (jiných pacientů s neuroblastomem, kteří nebyli zařazeni do studie a podstoupili jiný typ léčby).

Hlavním měřítkem účinnosti byl podíl pacientů, kteří byli po třech letech stále naživu.

## **Jaké byly hlavní důvody zamítnutí registrace?**

Agentura se domnívala, že nelze dospět k závěru ohledně účinnosti přípravku Omblastys. Vzhledem k tomu, že hlavní studie nezahrnovala randomizovaný srovnávací přípravek, nebylo možné stanovit léčebný účinek. Navíc nebylo možné zjistit, zda pacienti, kteří byli zařazeni do externí kontrolní skupiny vybrané společností k porovnání, mají podobnou základní prognózu jako pacienti léčení přípravkem Omblastys v rámci studie.

Agentura byla tudíž toho názoru, že poměr přínosů a rizik přípravku Omblastys při léčbě neuroblastomu nelze stanovit. Doporučila proto zamítnutí registrace.

## **Jaké jsou důsledky zamítnutí registrace pro pacienty zařazené do klinických studií?**

Společnost informovala agenturu, že zamítnutí registrace nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou v současné době zařazeni do klinických studií s přípravkem Omblastys.

Pokud jste zařazeni do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.