



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen von Omblastys (Omburtamab (^{131}I))

Die Europäische Arzneimittel-Agentur hat die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen von Omblastys, einem Arzneimittel zur Behandlung von Neuroblastomen, einem seltenen Krebs, der sich aus unreifen Nervenzellen bildet, empfohlen.

Die Agentur verabschiedete ihr Gutachten am 15. Dezember 2022. Y-mAbs Therapeutics A/S, das Unternehmen, das die Zulassung beantragte, kann innerhalb von 15 Tagen nach Erhalt des Gutachtens eine Überprüfung des Gutachtens beantragen.

Was ist Omblastys und wofür sollte es angewendet werden?

Omblastys sollte zur Behandlung von Neuroblastomen bei Patienten angewendet werden, deren Erkrankung sich auf das Gehirn, das Rückenmark oder die Leptomeninx (die sogenannten „weichen“ Hirnhäute, dünne Gewebeschichten, die das Gehirn und das Rückenmark bedecken und schützen) ausgebreitet hatte und die zuvor behandelt wurde.

Omblastys ist ein Radiopharmazeutikum (ein Arzneimittel mit geringen Mengen einer radioaktiven Substanz), das den Wirkstoff Omburtamab (^{131}I) enthält und als Infusionslösung (Tropfinfusion) zur Verabreichung in den vorhandenen, mit Flüssigkeit gefüllten Raum im Gehirn erhältlich sein sollte.

Omblastys wurde am 27. Februar 2017 als „Orphan-Arzneimittel“ (Arzneimittel für seltene Leiden) zur Behandlung von Neuroblastomen ausgewiesen. Weitere Informationen zu der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839.

Wie wirkt Omblastys?

Der Wirkstoff in Omblastys, Omburtamab (^{131}I), ist ein monoklonaler Antikörper (eine Art von Protein), der entwickelt wurde, um ein Protein mit der Bezeichnung CD276 zu erkennen und daran zu binden, das sich auf der Oberfläche von Neuroblastomzellen, jedoch nicht von normalen Zellen befindet. Dieser monoklonale Antikörper ist an radioaktives Jod (^{131}I) gebunden, das niedrig radioaktive Strahlung erzeugt.

Wenn sich die Arzneimittel an CD276 binden, ist zu erwarten, dass Strahlung von ^{131}I die DNA in den Krebszellen schädigt, was zum Absterben der Krebszellen führt.

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



Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Das Unternehmen legte Ergebnisse aus einer Hauptstudie vor, an der 109 Kinder mit Neuroblastom teilnahmen, deren Erkrankung sich entweder auf das Gehirn oder das Rückenmark ausgebreitet hatte. Die Patienten in der Studie erhielten Omblastys, und die Ergebnisse wurden mit denen einer externen Kontrollgruppe (andere Patienten mit Neuroblastom, die nicht an der Studie teilnahmen und andere Behandlungen erhalten hatten) verglichen.

Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war der Anteil der Patienten, die nach drei Jahren noch am Leben waren.

Was waren die Hauptgründe für die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen?

Die Agentur war der Auffassung, dass es nicht möglich war, eine Schlussfolgerung zur Wirksamkeit von Omblastys zu ziehen. Da es in der Hauptstudie kein randomisiertes Vergleichspräparat gab, war es nicht möglich, einen Behandlungseffekt zu bestimmen. Darüber hinaus konnte nicht eindeutig festgestellt werden, dass die Patienten in der externen Kontrollgruppe, die vom Unternehmen als Referenz ausgewählt wurden, eine ähnliche zugrunde liegende Prognose hatten wie die Patienten, die in der Studie mit Omblastys behandelt wurden.

Die Agentur war daher der Ansicht, dass das Nutzen-Risiko-Verhältnis von Omblastys bei der Behandlung von Neuroblastomen nicht nachgewiesen werden konnte. Deshalb empfahl die Agentur die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen.

Hat die Versagung Konsequenzen für Patienten, die derzeit an klinischen Studien teilnehmen?

Das Unternehmen teilte der Agentur mit, dass sich keine Konsequenzen für Patienten ergeben, die derzeit an klinischen Studien mit Omblastys teilnehmen.

Sollten Sie an einer klinischen Studie teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren Studienarzt.