



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Omblastys (omburtamab ( $^{131}\text{I}$ ))

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων εισηγήθηκε την απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Omblastys, ένα φάρμακο που προορίζεται για τη θεραπεία του νευροβλαστώματος, μιας σπάνιας μορφής καρκίνου που σχηματίζεται από ανώριμα νευρικά κύτταρα.

Ο Οργανισμός εξέδωσε τη γνώμη του στις 15 Δεκεμβρίου 2022. Η εταιρεία που υπέβαλε αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας, η Y-mAbs Therapeutics A/S, μπορεί να ζητήσει την επανεξέταση της γνώμης εντός 15 ημερών από την παραλαβή της γνώμης.

### **Τι είναι το Omblastys και σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί;**

Το Omblastys προοριζόταν για τη θεραπεία του νευροβλαστώματος σε ασθενείς των οποίων η νόσος είχε εξαπλωθεί στον εγκέφαλο, στον νωτιαίο μυελό ή στις λεπτομήνιγγες (λεπτά στρώματα ιστού που καλύπτουν και προστατεύουν τον εγκέφαλο και τον νωτιαίο μυελό) και οι οποίοι είχαν υποβληθεί προηγουμένως σε θεραπεία.

Το Omblastys είναι ραδιοφάρμακο (φάρμακο με μικρές ποσότητες ραδιενεργού ουσίας) το οποίο περιέχει τη δραστική ουσία omburtamab ( $^{131}\text{I}$ ) και επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή διαλύματος προς έγχυση (στάγδην χορήγηση) το οποίο χορηγείται σε υπάρχοντα γεμάτο υγρό χώρο του εγκεφάλου.

Το Omblastys χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 27 Φεβρουαρίου 2017, για τη θεραπεία του νευροβλαστώματος. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839).

### **Πώς δρα το Omblastys;**

Η δραστική ουσία του Omblastys, η omburtamab ( $^{131}\text{I}$ ), είναι μονοκλωνικό αντίσωμα (τύπος πρωτεΐνης) που έχει σχεδιαστεί ώστε να αναγνωρίζει και να προσκολλάται σε μια πρωτεΐνη που ονομάζεται CD276 και βρίσκεται στην επιφάνεια των κυττάρων του νευροβλαστώματος, αλλά όχι των φυσιολογικών κυττάρων. Αυτό το μονοκλωνικό αντίσωμα συνδέεται με ραδιενεργό ιώδιο ( $^{131}\text{I}$ ) το οποίο παράγει ακτινοβολία χαμηλού επιπέδου.

Όταν τα φάρμακα προσκολλώνται στην CD276, η ακτινοβολία από  $^{131}\text{I}$  αναμένεται να βλάψει το DNA εντός των καρκινικών κυττάρων, με αποτέλεσμα τον θάνατο των καρκινικών κυττάρων.

**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



## **Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;**

Η εταιρεία υπέβαλε τα αποτελέσματα μίας κύριας μελέτης που διενεργήθηκε σε 109 παιδιά με νευροβλάστωμα, η νόσος των οποίων είχε εξαπλωθεί είτε στον εγκέφαλο είτε στον νωτιαίο μυελό. Οι ασθενείς που μετείχαν στη μελέτη έλαβαν Omblastys και τα αποτελέσματα συγκρίθηκαν με εκείνα μιας εξωτερικής ομάδας ελέγχου (άλλοι ασθενείς με νευροβλάστωμα που δεν συμμετείχαν στη μελέτη και είχαν λάβει άλλες θεραπείες).

Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν το ποσοστό των ασθενών που ήταν ακόμη εν ζωή μετά από 3 έτη.

## **Ποιοι ήταν οι βασικοί λόγοι απόρριψης της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας;**

Ο Οργανισμός έκρινε ότι δεν ήταν δυνατή η εξαγωγή συμπεράσματος σχετικά με την αποτελεσματικότητα του Omblastys. Δεδομένου ότι στη βασική μελέτη δεν χρησιμοποιήθηκε φάρμακο σύγκρισης για τη διεξαγωγή τυχαιοποιημένης μελέτης, δεν ήταν δυνατός ο προσδιορισμός της επίδρασης της θεραπείας. Επιπλέον, δεν κατέστη δυνατό να διασφαλιστεί ότι οι ασθενείς στην εξωτερική ομάδα ελέγχου που επιλέχθηκε από την εταιρεία ως ομάδα αναφοράς παρουσίαζαν βασική πρόγνωση παρόμοια με εκείνη των ασθενών που έλαβαν Omblastys στη μελέτη.

Ως εκ τούτου, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι η σχέση οφέλους-κινδύνου του Omblastys για τη θεραπεία του νευροβλαστώματος δεν μπορούσε να τεκμηριωθεί. Συνεπώς, ο Οργανισμός εισηγήθηκε την απόρριψη της χορήγησης άδειας κυκλοφορίας.

## **Επηρεάζει η απόρριψη της αίτησης τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές;**

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν επί του παρόντος σε κλινικές δοκιμές με το Omblastys.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας παρακολουθεί στο πλαίσιο της δοκιμής.