



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 de diciembre de 2022
EMA/900390/2022
EMA/H/C/005499

Denegación de la autorización de comercialización de Omblastys [omburtamab (^{131}I)]

La Agencia Europea de Medicamentos ha recomendado denegar la autorización de comercialización de Omblastys, un medicamento destinado al tratamiento del neuroblastoma, un cáncer raro que se forma a partir de células nerviosas inmaduras.

La Agencia emitió su dictamen el 15 de diciembre de 2022. Y-mAbs Therapeutics A/S, la empresa que solicitó la autorización, puede solicitar la revisión del dictamen en un plazo de 15 días a partir de la recepción del dictamen.

¿Qué es Omblastys y a qué uso estaba destinado?

Omblastys estaba destinado al tratamiento del neuroblastoma en pacientes cuya enfermedad se había extendido al cerebro, la médula espinal o las leptomeninges (finas capas de tejido que cubren y protegen el cerebro y la médula espinal) y que habían sido tratados previamente.

Omblastys es un radiofármaco (un medicamento con pequeñas cantidades de una sustancia radiactiva) que contiene el principio activo omburtamab (^{131}I) e iba a presentarse en forma de solución para perfusión (goteo) que se administra en un espacio lleno de líquido que se encuentra en el cerebro.

Omblastys fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 27 de febrero de 2017 para el tratamiento del neuroblastoma. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839.

¿Cómo actúa Omblastys?

El principio activo de Omblastys, el omburtamab (^{131}I), es un anticuerpo monoclonal (tipo de proteína) diseñado para reconocer y adherirse a una proteína llamada CD276, que está presente en la superficie de las células del neuroblastoma, pero no en las células normales. Este anticuerpo monoclonal está vinculado al yodo radiactivo (^{131}I) que produce una radiación de bajo nivel.

Se espera que, cuando el medicamento se une a la proteína CD276, la radiación del ^{131}I dañe el ADN de las células cancerosas, provocando su muerte.

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



¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

La empresa presentó los resultados de un estudio principal realizado en 109 niños con neuroblastoma cuya enfermedad se había extendido al cerebro o a la médula espinal. A los pacientes del estudio se les administró Omblastys y los resultados se compararon con los de un grupo de control externo (otros pacientes con neuroblastoma que no participaron en el estudio y que habían recibido otros tratamientos).

El criterio principal de valoración de la eficacia fue la proporción de pacientes que seguían vivos al cabo de 3 años.

¿Cuáles fueron los motivos principales para denegar la autorización de comercialización?

La Agencia consideró que no era posible extraer conclusiones sobre la eficacia de Omblastys. Dado que el estudio principal no tenía un comparador aleatorizado, no fue posible determinar el efecto del tratamiento. Además, no pudo determinarse que los pacientes del grupo de control externo seleccionado para referencia por la empresa tuvieran un pronóstico subyacente similar al de los tratados con Omblastys en el estudio.

Por tanto, la Agencia consideró que no podía establecerse la relación entre los beneficios y los riesgos de Omblastys en el tratamiento del neuroblastoma. Por tanto, la Agencia recomendó denegar la autorización de comercialización.

¿Qué consecuencias tiene esta denegación para los pacientes que participan en los ensayos clínicos?

La empresa informó a la Agencia de que no hay consecuencias para los pacientes que participan en ensayos clínicos con Omblastys.

Si participa usted en un ensayo clínico y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con el médico que realiza el ensayo clínico.