



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Omblastys-lääkevalmisteiden (omburtamabi (^{131}I)) myyntiluvan epääminen

Euroopan lääkevirasto suosittelee Omblastys-lääkevalmisteiden myyntiluvan epäämistä. Lääkevalmiste on tarkoitettu neuroblastooman hoitoon. Kyseinen sairaus on harvinainen syöpä, joka muodostuu epäkypsistä hermosoluista.

Virasto antoi asiasta lausunnon 15. joulukuuta 2022. Myyntilupaa hakenut yhtiö Y-mAbs Therapeutics A/S voi pyytää lausunnon uudelleen käsittelyä 15 päivän kuluessa sen vastaanottamisesta.

Mitä Omblastys on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Omblastys oli tarkoitettu neuroblastooman hoitoon potilailla, joiden sairaus oli levinnyt aivoihin, selkäyttimeen tai leptomeningeihin (aivoja ja selkäydintä peittävät ja suojaavat ohuet kudokset) ja jotka ovat saaneet sairauteensa aiemmin hoitoa.

Omblastys, jonka vaikuttava aine on omburtamabi (^{131}I), on radioaktiivinen lääkevalmiste (lääke, jossa on pieniä määriä radioaktiivista ainetta). Lääkevalmistetta oli määrä saada infuusioliuoksena (tiputukseen), jota oli tarkoitus antaa nesteen täyttämään tilaan aivoissa.

Omblastys nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 27. helmikuuta 2017 neuroblastooman hoitoon. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839.

Miten Omblastys vaikuttaa?

Omblastys-valmisteen vaikuttava aine omburtamabi (^{131}I) on monoklonaalinen vasta-aine (proteiinityyppi), joka on suunniteltu tunnistamaan CD276-proteiini ja kiinnittymään siihen. Kyseistä proteiinia on neuroblastoomasolujen pinnalla mutta ei normaaleissa soluissa. Tähän monoklonaaliseen vasta-aineeseen on yhdistetty radioaktiivista jodia (^{131}I), joka tuottaa matala-aktiivista säteilyä.

Kun lääkkeet kiinnittyvät CD276:een, ^{131}I :stä peräisin olevan säteilyn odotetaan vahingoittavan syöpäsolujen DNA:ta ja johtavan syöpäsolujen kuolemaan.

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



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö toimitti tulokset yhdestä päätutkimuksesta. Siihen osallistui 109 neuroblastoomaa sairastavaa lasta, joiden sairaus oli levinnyt joko aivoihin tai selkäyttimeen. Tutkimukseen osallistuneille potilaille annettiin Omblastys-valmistetta. Saatuja tuloksia verrattiin ulkoisen verrokkiryhmän tuloksiin (muut neuroblastoomaa sairastavat potilaat, jotka eivät olleet mukana tutkimuksessa ja jotka olivat saaneet muita hoitoja).

Tehon pääasiallisena mittana oli potilaiden osuus, jotka olivat elossa kolmen vuoden kuluttua.

Mitkä olivat tärkeimmät syyt myyntiluvan epäämiseen?

Virasto katsoi, ettei Omblastysin tehosta voitu tehdä päätelmiä. Koska päätutkimuksessa ei ollut satunnaista vertailulääkettä, hoidon tehoa ei ollut mahdollista määrittää. Ei myöskään voitu osoittaa todeksi, että yhtiön valitseman ulkoisen verrokkiryhmän potilailla oli samanlainen ennuste kuin Omblastys-valmisteella tutkimuksessa hoidetuilla potilailla.

Siten virasto katsoi, että Omblastys-valmisteen riski-hyötysuhdetta neuroblastooman hoidossa ei voitu osoittaa. Näin ollen virasto suositteli myyntilupahakemuksen epäämistä.

Vaikuttaako tämä epääminen kliinisiin tutkimuksiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia Omblastys-valmistetta koskeviin kliinisiin tutkimuksiin osallistuneille potilaille.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä kliinisen tutkimuksen lääkäriin.