



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Refus de l'autorisation de mise sur le marché pour Omblastys [omburtamab (^{131}I)]

L'Agence européenne des médicaments a recommandé le refus de l'autorisation de mise sur le marché pour Omblastys, un médicament destiné au traitement du neuroblastome, un cancer rare qui se forme à partir de cellules nerveuses immatures.

L'Agence a rendu son avis le 15 décembre 2022. Y-mAbs Therapeutics A/S, la société ayant demandé l'autorisation, peut demander un réexamen de l'avis dans un délai de 15 jours suivant la réception de l'avis.

Qu'est-ce qu'Omblastys et dans quel cas devait-il être utilisé?

Omblastys était destiné au traitement du neuroblastome chez les patients dont la maladie s'était étendue au cerveau, à la moelle épinière ou aux leptoméninges (fines couches de tissus qui couvrent et protègent le cerveau et la moelle épinière) et qui avaient été précédemment traités.

Omblastys est un produit radiopharmaceutique (un médicament contenant de petites quantités d'une substance radioactive) qui contient la substance active omburtamab (^{131}I) et il devait être disponible sous la forme d'une solution pour perfusion (goutte-à-goutte) administrée dans un espace existant rempli de liquide dans le cerveau.

Omblastys a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares) le 27 février 2017 pour le traitement du neuroblastome. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous : ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839.

Comment Omblastys agit-il?

La substance active d'Omblastys, l'omburtamab (^{131}I), est un anticorps monoclonal (un type de protéine) conçu pour reconnaître une protéine appelée CD276, présente à la surface des cellules d'un neuroblastome, mais pas des cellules normales, et se fixer à cette protéine. Cet anticorps monoclonal est lié à l'iode radioactif (^{131}I) qui produit un rayonnement de faible intensité.

Lorsque le médicament se fixe à la CD276, un rayonnement de ^{131}I est censé endommager l'ADN dans les cellules cancéreuses et ainsi entraîner leur mort.

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



Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

La société a fourni les résultats d'une étude principale menée auprès de 109 enfants atteints d'un neuroblastome dont la maladie s'était propagée soit au cerveau, soit à la moelle épinière. Les patients inclus dans l'étude ont reçu Omblastys et les résultats ont été comparés à ceux d'un groupe de contrôle externe (autres patients atteints d'un neuroblastome qui n'étaient pas inclus dans l'étude et qui avaient reçu d'autres traitements).

Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la proportion de patients qui étaient encore en vie après 3 ans.

Quels étaient les principaux motifs ayant conduit au refus de l'autorisation de mise sur le marché?

L'Agence a estimé qu'il n'était pas possible de tirer de conclusion quant à l'efficacité d'Omblastys. Étant donné que l'étude principale ne disposait pas d'un comparateur randomisé, il n'a pas été possible de déterminer un effet thérapeutique. En outre, il n'a pas pu être établi que les patients du groupe de contrôle externe sélectionnés par la société pour référence avaient un pronostic sous-jacent similaire à celui des patients traités par Omblastys dans l'étude.

Par conséquent, l'Agence était d'avis que le rapport bénéfice/risque d'Omblastys dans le traitement du neuroblastome ne pouvait pas être établi. L'Agence a donc recommandé le refus de l'autorisation de mise sur le marché.

Ce refus a-t-il des conséquences pour les patients participant aux essais cliniques?

La société a informé l'Agence qu'il n'y avait aucune conséquence pour les patients inclus dans des essais cliniques utilisant Omblastys.

Si vous participez à un essai clinique et que vous souhaitez obtenir des informations complémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui dirige l'essai clinique.