



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Odbijanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Omblastys (omburtamab ( $^{131}\text{I}$ ))

Europska agencija za lijekove preporučila je odbijanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Omblastys, namijenjenog liječenju neuroblastoma, rijetkog raka koji nastaje iz nezrelih živčanih stanica.

Agencija je objavila mišljenje 15. prosinca 2022. Y-mAbs Therapeutics A/S, tvrtka koja je podnijela zahtjev za odobrenje, može zatražiti preispitivanje mišljenja u roku od 15 dana od primitka mišljenja.

### Što je Omblastys i za što se trebao koristiti?

Lijek Omblastys bio je namijenjen liječenju neuroblastoma u bolesnika čija se bolest proširila na mozak, leđnu moždinu ili leptomeninge (tanke slojeve tkiva koji pokrivaju i štite mozak i leđnu moždinu) i koji su prethodno prošli terapiju.

Omblastys je radiofarmaceutik (lijek s malim količinama radioaktivne tvari) koji sadrži djelatnu tvar omburtamab ( $^{131}\text{I}$ ) i trebao je biti dostupan kao otopina za infuziju (ukapavanje) koja se daje u postojeći prostor u mozgu napunjen tekućinom.

Lijek Omblastys uvršten je na popis lijekova za rijetke bolesti 27. veljače 2017. za liječenje neuroblastoma. Dodatne informacije o uvrštenju na popis lijekova za rijetke bolesti dostupne su na mrežnom mjestu Agencije: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839).

### Kako djeluje Omblastys?

Djelatna tvar lijeka Omblastys, omburtamab ( $^{131}\text{I}$ ), monoklonsko je protutijelo (vrsta bjelančevine) namijenjeno prepoznavanju i vezivanju na bjelančevinu naziva CD276 koja je prisutna na površini stanica neuroblastoma, ali ne i na normalnim stanicama. To monoklonsko protutijelo povezano je s radioaktivnim jodom ( $^{131}\text{I}$ ) koji proizvodi zračenje niske razine.

Kada se lijekovi vežu na CD276, očekuje se da će zračenje iz izvora  $^{131}\text{I}$  oštetiti DNK u stanicama raka, što će rezultirati odumiranjem stanica raka.

---

**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



## **Što je tvrtka dostavila u prilog svojem zahtjevu?**

Tvrtka je dostavila rezultate jednog glavnog ispitivanja provedenog na 109 djece s neuroblastomom čija se bolest proširila na mozak ili leđnu moždinu. Bolesnici koji su sudjelovali u ispitivanju primali su lijek Omblastys, a rezultati su uspoređeni s rezultatima vanjske kontrolne skupine (drugih bolesnika s neuroblastomom koji nisu sudjelovali u ispitivanju i koji su primali druge terapije).

Glavno mjerilo djelotvornosti bio je udio bolesnika koji su bili živi i nakon tri godine.

## **Koji su bili glavni razlozi za odbijanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet?**

Agencija je smatrala da nije moguće donijeti zaključak o učinkovitosti lijeka Omblastys. Budući da u glavnom ispitivanju nije bilo randomiziranih usporednih lijekova, nije bilo moguće utvrditi učinak terapije. Nadalje, nije se moglo utvrditi da su bolesnici iz vanjske kontrolne skupine koju je tvrtka odabrala za referencu imali sličnu pozadinsku prognozu kao oni na terapiji lijekom Omblastys u ispitivanju.

Stoga je mišljenje Agencije bilo da nije moguće utvrditi omjer koristi i rizika lijeka Omblastys u liječenju neuroblastoma. Zbog toga je Agencija preporučila uskraćivanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

## **Ima li ovo odbijanje posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima?**

Tvrtka je obavijestila Agenciju da nema posljedica za bolesnike koji su uključeni u klinička ispitivanja u kojima se koristi lijek Omblastys.

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju te vam je potrebno više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vodi kliničko ispitivanje.