



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Omblastys [omburtamab (^{131}I)]

L'Agenzia europea per i medicinali ha raccomandato il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Omblastys, un medicinale destinato al trattamento del neuroblastoma, un tumore raro che si forma dalle cellule nervose immature.

L'Agenzia ha emesso il suo parere il 15 dicembre 2022. Y-mAbs Therapeutics A/S, la ditta che ha presentato la domanda di autorizzazione, può chiedere il riesame del parere entro 15 giorni dal ricevimento dello stesso.

Che cos'è Omblastys e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?

Omblastys era destinato al trattamento del neuroblastoma in pazienti la cui malattia si era diffusa al cervello, al midollo spinale o alle leptomeningi (strati sottili di tessuto che coprono e proteggono il cervello e il midollo spinale) ed era stata trattata in precedenza.

Omblastys è un radiofarmaco (un medicinale contenente piccole quantità di una sostanza radioattiva) che contiene il principio attivo omburtamab (^{131}I) e avrebbe dovuto essere disponibile come soluzione per infusione (flebo) da somministrare nello spazio pieno di liquido esistente nel cervello.

Omblastys è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 27 febbraio 2017 per il trattamento del neuroblastoma. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839.

Come agisce Omblastys?

Il principio attivo di Omblastys, omburtamab (^{131}I), è un anticorpo monoclonale (tipo di proteina) concepito per riconoscere una proteina denominata CD276, presente sulla superficie delle cellule del neuroblastoma, ma non delle cellule normali, e legarsi a essa. Questo anticorpo monoclonale è legato allo iodio radioattivo (^{131}I) che produce radiazioni di basso livello.

Quando i medicinali si legano a CD276, si prevede che la radiazione da ^{131}I danneggi il DNA all'interno delle cellule cancerogene, causando la morte di queste ultime.

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



Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha fornito i risultati di uno studio principale condotto su 109 bambini affetti da neuroblastoma che si era diffuso al cervello o al midollo spinale. Ai pazienti che hanno partecipato allo studio è stato somministrato Omblastys e i risultati sono stati confrontati con quelli di un gruppo di controllo esterno (altri pazienti affetti da neuroblastoma che non erano nello studio e avevano ricevuto altri trattamenti).

La principale misura dell'efficacia era la percentuale di pazienti ancora in vita dopo 3 anni.

Quali sono stati i motivi principali per il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio?

L'Agenzia ha ritenuto che non fosse possibile trarre conclusioni sull'efficacia di Omblastys. Poiché lo studio principale non aveva un comparatore randomizzato, non è stato possibile determinare un effetto del trattamento. Inoltre, non è stato possibile accertare che i pazienti del gruppo di controllo esterno selezionato per riferimento dalla ditta presentassero una prognosi di base simile a quella dei pazienti trattati con Omblastys nello studio.

Pertanto, l'Agenzia era del parere che non fosse possibile stabilire il rapporto rischi/benefici di Omblastys nel trattamento del neuroblastoma. L'Agenzia aveva quindi raccomandato di rifiutare l'autorizzazione all'immissione in commercio.

Quali sono le conseguenze del rifiuto per i pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici con Omblastys.

Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico dello studio clinico.