



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2022. gada 16. decembris
EMA/900390/2022
EMA/H/C/005499

Omblastys (omburtamaba (^{131}I)) reģistrācijas apliecības atteikums

Eiropas Zāļu aģentūra ieteica atteikt reģistrācijas apliecības izsniegšanu zālēm *Omblastys*, kas paredzētas neuroblastomas (reta vēža, kas veidojas no nenobriedušām nervu šūnām) ārstēšanai.

Aģentūra izdeva atzinumu 2022. gada 15. decembrī. Uzņēmums *Y-mAbs Therapeutics A/S*, kas iesniedza reģistrācijas pieteikumu, var lūgt atkārtoti izvērtēt atzinumu 15 dienu laikā pēc atzinuma saņemšanas.

Kas ir *Omblastys* un kādam nolūkam bija paredzēts tās lietot?

Omblastys bija paredzētas neuroblastomas ārstēšanai pacientiem, kuriem slimība bija izplatījusies uz galvas smadzenēm, muguras smadzenēm vai leptomeningiem (plāniem audu slāņiem, kas sedz un aizsargā galvas un muguras smadzenes) un kuri iepriekš tikuši ārstēti.

Omblastys ir radiofarmaceutisks preparāts (zāles ar radioaktīvas vielas nelielu daudzumu), kas satur aktīvo vielu omburtamabu (^{131}I). Bija paredzēts, ka šīs zāles būs pieejamas kā šķīdums infūzijām (ievadīšanai pilienuveidā), ko ievada esošajā ar šķidrumu pildītajā smadzeņu telpā.

Omblastys 2017. gada 27. februārī tika apstiprinātas kā zāles reti sastopamu slimību ārstēšanai, lai ārstētu neuroblastomu. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama Aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839.

Kā *Omblastys* darbojas?

Omblastys aktīvā viela omburtamabs (^{131}I) ir monoklonāla antivielas (olbaltumvielas veids), kas izstrādāta, lai atpazītu un piesaistītos proteīnam, ko dēvē par CD276 un kas atrodas uz neuroblastomas šūnu virsmas, bet nav sastopams uz normālu šūnu virsmas. Šai monoklonālajai antivielai ir piesaistīts radioaktīvais jods (^{131}I), kas emitē zema līmeņa starojumu.

Kad zāles piesaistās pie CD276, paredzams, ka ^{131}I starojums bojā vēža šūnu DNS, izraisot vēža šūnu bojāeju.

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



Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums iesniedza rezultātus no viena pamatpētījuma, kas veikts ar 109 bērniem ar neuroblastomu, kuriem slimība bija izplatījusies uz galvas smadzenēm vai muguras smadzenēm. Pētījumā iesaistītajiem pacientiem deva *Omblastys*, un rezultāti tika salīdzināti ar ārējās kontroles grupas rezultātiem (citiem pacientiem ar neuroblastomu, kuri nebija iekļauti pētījumā un kuri bija saņēmuši citu ārstēšanu).

Galvenais efektivitātes rādītājs bija to pacientu īpatsvars, kuri pēc trīs gadiem joprojām bija dzīvi.

Kādi bija galvenie iemesli reģistrācijas apliecības atteikumam?

Aģentūra uzskatīja, ka nav iespējams izdarīt secinājumus par *Omblastys* efektivitāti. Tā kā pamatpētījumā nebija nejaušinātu salīdzinājuma zāļu, nebija iespējams noteikt ārstēšanas efektu. Turklāt nebija iespējams pārlicināties, ka pacientiem ārējās kontroles grupā, kurus uzņēmums atlasīja atsaucei, pamatā ir līdzīga prognoze kā pacientiem, kurus pētījumā ārstēja ar *Omblastys*.

Tāpēc Aģentūra uzskatīja, ka nav iespējams noteikt *Omblastys* ieguvuma un riska attiecību neuroblastomas ārstēšanā. Tāpēc Aģentūra ieteica neizsniegt zāļu reģistrācijas apliecību.

Vai šis atteikums ietekmē pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos?

Uzņēmums informēja Aģentūru, ka atteikums neietekmēs pacientus, kuri pašlaik piedalās *Omblastys* klīniskajos pētījumos.

Ja jūs pašlaik piedalāties klīniskā pētījumā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par terapiju, jautājiet savam klīniskā pētījuma ārstam.