



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Weigering van de vergunning voor het in de handel brengen van Omblastys (omburtamab (^{131}I))

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geadviseerd de vergunning voor het in de handel brengen van Omblastys te weigeren. Omblastys is een geneesmiddel dat bedoeld is voor de behandeling van neuroblastoom, een zeldzame vorm van kanker die ontstaat uit onrijpe zenuwcellen.

Het Geneesmiddelenbureau heeft zijn advies uitgebracht op 15 december 2022. Y-mAbs Therapeutics A/S, het bedrijf dat de aanvraag voor een vergunning heeft ingediend, kan binnen 15 dagen na ontvangst van het advies verzoeken om een heronderzoek daarvan.

Wat is Omblastys en voor welke behandeling was het bedoeld?

Omblastys was bedoeld voor de behandeling van neuroblastoom bij patiënten bij wie de ziekte was uitgezaaid naar de hersenen, het ruggenmerg of de leptomeningen (dunne weefsellagen die de hersenen en het ruggenmerg bedekken en beschermen) en die eerder waren behandeld.

Omblastys is een radiofarmacon (een geneesmiddel met kleine hoeveelheden van een radioactieve stof) dat de werkzame stof omburtamab (^{131}I) bevat en verkrijgbaar zou zijn in de vorm van een oplossing voor infusie (indruppeling) bedoeld voor toediening in een bestaande met vloeistof gevulde ruimte in de hersenen.

Omblastys werd op 27 februari 2017 voor de behandeling van neuroblastoom aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de website van het Geneesmiddelenbureau:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839.

Hoe werkt Omblastys?

De werkzame stof in Omblastys, omburtamab (^{131}I), is een monoklonaal antilichaam (een soort eiwit) dat is ontwikkeld om het eiwit CD276 te herkennen en zich hieraan te hechten; dit eiwit is aanwezig op het oppervlak van neuroblastoomcellen, maar niet op normale cellen. Het monoklonale antilichaam is gekoppeld aan radioactief jodium (^{131}I) dat straling met een laag stralingsniveau produceert.

Wanneer het geneesmiddel zich aan CD276 hecht, zal de straling van ^{131}I het DNA in de kankercellen naar verwachting beschadigen, waardoor deze afsterven.

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



Welke documentatie heeft het bedrijf ingediend ter onderbouwing van de aanvraag?

Het bedrijf heeft resultaten overgelegd van één hoofdstudie onder 109 kinderen met neuroblastoom bij wie de ziekte was uitgezaaid naar de hersenen of het ruggenmerg. De patiënten in de studie kregen Omblastys en de resultaten werden vergeleken met die van een externe controlegroep (andere patiënten met neuroblastoom die niet in de studie waren opgenomen en die andere behandelingen hadden gekregen).

De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was het percentage patiënten dat na drie jaar nog in leven was.

Wat waren de voornaamste redenen om de handelsvergunning te weigeren?

Het Geneesmiddelenbureau was van oordeel dat het niet mogelijk was om conclusies te trekken over de werkzaamheid van Omblastys. Aangezien er in de hoofdstudie geen gerandomiseerd vergelijkend onderzoek was gedaan, was het niet mogelijk om een behandelingseffect te bepalen. Bovendien stond niet vast dat de patiënten in de door het bedrijf ter referentie geselecteerde externe controlegroep een vergelijkbare uitgangsprognose hadden als de patiënten die in de studie met Omblastys werden behandeld.

Daarom was het Geneesmiddelenbureau van mening dat de baten-risicoverhouding van Omblastys bij de behandeling van neuroblastoom niet kon worden vastgesteld. Het Geneesmiddelenbureau adviseerde daarom de handelsvergunning te weigeren.

Heeft deze weigering gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven?

Het bedrijf heeft het Geneesmiddelenbureau meegedeeld dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven met Omblastys.

Indien u deelneemt aan een klinische proef en meer informatie wenst over uw behandeling, neem dan contact op met uw onderzoeksarts.