



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 grudnia 2022 r.
EMA/900390/2022
EMA/H/C/005499

Odmowa przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla produktu Omblastys (omburtamab (^{131}I))

Europejska Agencja Leków zaleciła odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla produktu Omblastys, leku przeznaczonego do leczenia nerwiaka zarodkowego – rzadkiego nowotworu który powstaje z niedojrzałych komórek nerwowych.

Agencja wydała opinię w dniu 15 grudnia 2022 r. Firma Y-mAbs Therapeutics A/S, która złożyła wniosek o dopuszczenie do obrotu, może wystąpić o ponowne rozpatrzenie opinii w ciągu 15 dni od jej otrzymania.

Co to jest Omblastys i w jakim celu miał być stosowany?

Lek Omblastys miał być stosowany w leczeniu nerwiaka zarodkowego u pacjentów, u których choroba rozprzestrzeniła się do mózgu, rdzenia kręgowego lub opon mózgowych (cienkie warstwy tkanek pokrywające i chroniące mózg oraz rdzeń kręgowy), wcześniej poddanych leczeniu.

Omblastys jest produktem radiofarmaceutycznym (lek zawierający niewielkie ilości substancji radioaktywnej) zawierającym substancję czynną omburtamab (^{131}I), który miał być dostępny w postaci roztworu do infuzji (wlew) podawanego do istniejącej, wypełnionej płynem przestrzeni w mózgu.

W dniu 27 lutego 2017 r. lek Omblastys uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu nerwiaka zarodkowego. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć na stronie Agencji: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839.

Jak działa produkt Omblastys?

Substancja czynna leku Omblastys, omburtamab (^{131}I), jest przeciwciałem monoklonalnym (rodzaj białka), które zostało zaprojektowane w taki sposób, aby odróżniało białko o nazwie CD276 występujące na powierzchni komórek nerwiaka zarodkowego od tego występującego w prawidłowych komórkach, i wiązało się z nim. To przeciwciało monoklonalne wiąże się z jodem radioaktywnym (^{131}I), który wytwarza promieniowanie o niskim poziomie.

Po przyłączeniu się leku do CD276 oczekuje się, że promieniowanie pochodzące od ^{131}I spowoduje uszkodzenie DNA w komórkach nowotworowych i przyczyni się do unicestwienia komórek nowotworowych.

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



Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki pochodzące z jednego badania głównego z udziałem 109 dzieci z nerwiakiem zarodkowym, u których choroba rozprzestrzeniła się do mózgu lub rdzenia kręgowego. Pacjentom w badaniu podawano lek Omblastys, a wyniki porównywano z wynikami zewnętrznej grupy kontrolnej (inni pacjenci z nerwiakiem zarodkowym, którzy nie brali udziału w badaniu i otrzymywali inne rodzaje leczenia).

Głównym kryterium oceny skuteczności był odsetek pacjentów, którzy pozostali przy życiu po 3 latach.

Jakie były główne powody odmowy przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu?

Agencja uznała, że nie jest możliwe wyciągnięcie wniosków na temat skuteczności produktu Omblastys. Z uwagi na to, że w badaniu głównym nie stosowano randomizowanego leku porównawczego, nie było możliwe określenie wpływu leczenia. Ponadto nie można było ustalić, czy w badaniu u pacjentów z zewnętrznej grupy kontrolnej wytypowanej przez firmę do konsultacji podstawowe rokowania były podobne, jak u pacjentów leczonych produktem Omblastys.

W związku z tym Agencja wyraziła opinię, że nie można ustalić stosunku korzyści do ryzyka dla produktu Omblastys w leczeniu nerwiaka zarodkowego. Agencja zaleciła zatem odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Jakie są skutki odmowy dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów obecnie biorących udział w badaniach klinicznych z użyciem leku Omblastys.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.