



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 de dezembro de 2022
EMA/900390/2022
EMA/H/C/005499

Recusa da Autorização de Introdução no Mercado para Omblastys (omburtamab (^{131}I))

A Agência Europeia de Medicamentos recomendou a recusa da Autorização de Introdução no Mercado para o Omblastys, um medicamento destinado ao tratamento do neuroblastoma, um cancro raro que se forma a partir de células nervosas imaturas.

A Agência emitiu o seu parecer em 15 de dezembro de 2022. A empresa que apresentou o pedido de autorização de introdução no mercado, a Y-mAbs Therapeutics A/S, pode solicitar o reexame do parecer no prazo de 15 dias a contar da receção do mesmo.

O que é o Omblastys e qual a utilização prevista?

O Omblastys destinava-se ao tratamento do neuroblastoma em doentes cuja doença se tinha espalhado para o cérebro, a medula espinal ou as leptomeninges (camadas finas de tecido que cobrem e protegem o cérebro e a medula espinal) e que tinha sido tratado anteriormente.

O Omblastys é um radiofármaco (um medicamento com pequenas quantidades de uma substância radioativa) que contém a substância ativa omburtamab (^{131}I) e iria ser disponibilizado na forma de solução para perfusão (administração gota a gota) no espaço existente cheio de líquido no cérebro.

O Omblastys foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 27 de fevereiro de 2017 para o tratamento do neuroblastoma. Pode obter informações adicionais sobre a designação de medicamento órfão no sítio da internet da Agência:

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

Como funciona o Omblastys?

A substância ativa do Omblastys, o omburtamab (^{131}I), é um anticorpo monoclonal (tipo de proteína) concebido para reconhecer e ligar-se a uma proteína denominada CD276, que está presente na superfície das células do neuroblastoma, mas não nas células normais. Este anticorpo monoclonal está ligado ao iodo radioativo (^{131}I), que produz radiação de baixo nível.

Quando os medicamentos se ligam à CD276, prevê-se que a radiação de ^{131}I danifique o ADN no interior das células cancerígenas, provocando a sua morte.

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



Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?

A empresa apresentou os resultados de um estudo principal realizado em 109 crianças com neuroblastoma cuja doença se tinha disseminado para o cérebro ou para a medula espinal. Os doentes no estudo receberam o Omblastys e os resultados foram comparados com os de um grupo de controlo externo (outros doentes com neuroblastoma que não estavam no estudo e tinham recebido outros tratamentos).

O principal parâmetro de eficácia foi a percentagem de doentes que ainda estavam vivos após 3 anos.

Quais foram as principais razões para a recusa da Autorização de Introdução no Mercado?

A Agência considerou que não foi possível chegar a nenhuma conclusão sobre a eficácia do Omblastys. Uma vez que o estudo principal não tinha nenhum comparador aleatorizado, não foi possível determinar os efeitos do tratamento. Além disso, não foi possível verificar se os doentes do grupo de controlo externo selecionado para referência pela empresa tinham um prognóstico subjacente semelhante ao dos doentes tratados com o Omblastys no estudo.

Por conseguinte, a Agência considerou que a relação benefício-risco do Omblastys no tratamento do neuroblastoma não podia ser estabelecida. Consequentemente, a Agência recomendou a recusa da autorização de introdução no mercado.

Esta recusa afeta os doentes em ensaios clínicos?

A empresa informou a Agência de que não existem consequências para os doentes incluídos em ensaios clínicos com o Omblastys.

Se estiver incluído num ensaio clínico e necessitar de mais informações sobre o seu tratamento, fale com o seu médico do ensaio clínico.