



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Avslag på ansökan om godkännande för försäljning av Omblastys (omburtamab (¹³¹I))

Europeiska läkemedelsmyndigheten har rekommenderat avslag på ansökan om godkännande för försäljning av Omblastys, ett läkemedel avsett för behandling av neuroblastom, en sällsynt cancer som bildas med hjälp av omogna nervceller.

Myndigheten utfärdade sitt yttrande den 15 december 2022. Y-mAbs Therapeutics A/S, det företag som ansökte om godkännandet, kan begära förnyad prövning inom 15 dagar från det att företaget mottagit yttrandet.

Vad är Omblastys och vad skulle det användas för?

Omblastys var avsett för behandling av neuroblastom hos tidigare behandlade patienter vars sjukdom spridit sig till hjärnan, ryggmärgen eller leptomeningerna (tunna vävnadshinnor som täcker och skyddar hjärnan och ryggmärgen).

Omblastys är ett radioaktivt läkemedel (innehållande små mängder av en radioaktiv substans) som innehåller den aktiva substansen omburtamab (¹³¹I). Det skulle finnas som en infusionsvätska, lösning (dropp) och ges i ett befintligt vätskefyllt utrymme i hjärnan.

Den 27 februari 2017 klassificerades Omblastys som ett sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) för behandling av neuroblastom. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-17-1839.

Hur verkar Omblastys?

Den aktiva substansen i Omblastys, omburtamab (¹³¹I), är en monoklonal antikropp (en typ av protein) som utformats för att känna igen och binda till ett protein som kallas CD276. Denna monoklonala antikropp finns på neuroblastomcellernas yta, men förekommer inte hos normala celler. Den har förts samman med radioaktivt jod (¹³¹I) som alstrar låggradig strålning.

När läkemedlet fäster vid CD276 förväntas strålningen från ¹³¹I skada det DNA som finns inuti cancercellerna och därigenom orsaka dessa cellers död.

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



Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget lämnade in resultaten från en huvudstudie på 109 barn med neuroblastom som hade spridit sig till hjärnan eller ryggmärgen. Patienterna i studien fick Omblastys och resultaten jämfördes med resultaten från en extern kontrollgrupp (andra patienter med neuroblastom som inte ingick i studien och som hade fått andra läkemedel).

Huvudeffektåttet var andelen patienter som fortfarande levde efter 3 år.

Vilka var de främsta skälen till att avslå ansökan om godkännande för försäljning?

Myndigheten ansåg att det var omöjligt att fastställa om Omblastys var effektivt mot sjukdomen. Eftersom huvudstudien inte hade något randomiserat jämförelseläkemedel var det inte möjligt att fastställa en behandlingseffekt. Det kunde heller inte fastställas huruvida patienterna i den externa kontrollgrupp som företaget valt som referens hade en underliggande prognos liknande den hos patienterna som behandlades med Omblastys i studien.

Myndigheten ansåg därför att nytta-riskförhållandet för Omblastys vid behandling av neuroblastom inte kunde fastställas. Myndigheten rekommenderade följaktligen att godkännande för försäljning inte skulle beviljas.

Påverkar detta avslag patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade myndigheten om att beslutet inte får några följder för patienter i kliniska prövningar med Omblastys.

Om du deltar i en klinisk prövning och behöver mer information om din behandling kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.