



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22. května 2026
EMA/112994/2026
EMA/H/C/006392

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Orblid (bevacizumab)

Společnost Laboratoires Delbert stáhla svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Orblid určeného k léčbě hereditární hemoragické teleangiektázie, což je genetické onemocnění, které způsobuje abnormality kapilár (drobných krevních cév spojujících tepny a žíly).

Společnost svou žádost stáhla dne 20. dubna 2026.

Co je přípravek Orblid a k čemu měl být používán?

Přípravek Orblid byl vyvinut jako léčivý přípravek k léčbě dospělých s hereditární hemoragickou teleangiektázií, kteří vykazují:

- závažné poškození jater způsobující srdeční potíže, jako je vysokoprůtokové zatížení srdce vedoucí k přetrvávající dušnosti navzdory odpovídající léčbě,
- nebo formu onemocnění způsobující závažné krvácení (s krvácením z nosu nebo krvácení do trávicího traktu), které vyžaduje krevní transfuze nebo podání železa do žíly.

Nejčastějšími příznaky onemocnění jsou spontánní a časté krvácení z nosu a červené skvrny na kůži. Krvácení se může vyskytnout také v žaludku, střevech, mozku, játrech a plicích a často vede k anémii (nízkému počtu červených krvinek).

Přípravek Orblid obsahuje léčivou látku bevacizumab a měl být dostupný ve formě infuze podávané do žíly (kapačky). Bevacizumab je v EU schválen od roku 2005 v kombinaci s dalšími léčivými přípravky k léčbě různých nádorových onemocnění. Tato žádost se tedy týkala použití dobře známé léčivé látky v nové indikaci.

Přípravek Orblid byl dne 16. prosince 2014 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ určený k léčbě hereditární hemoragické teleangiektázie. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-14-1390.

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



Jak přípravek Orblid působí?

Pacienti s hereditární hemoragickou teleangiectázií vykazují genetickou mutaci (poruchu), která vede k vysokým hladinám VEGF (vaskulárního endoteliálního růstového faktoru), což je bílkovina podílející se na růstu krevních cév. To způsobuje abnormální růst krevních cév, což vede k přímým spojením mezi tepnami a žilami, čímž se zvyšuje riziko krvácení.

Léčivá látka v přípravku Orblid, bevacizumab, je monoklonální protilátka (typ bílkoviny), která byla vyvinuta tak, aby rozpoznala bílkovinu VEGF a navázala se na ni a blokovala její působení. Předpokládá se, že blokováním VEGF bevacizumab zabraňuje růstu abnormálních krevních cév, čímž zmírňuje příznaky krvácení u hereditární hemoragické teleangiectázie.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky dvou hlavních studií. Do první studie bylo zařazeno 25 dospělých s hereditární hemoragickou teleangiectázií se závažným poškozením jater a srdečními potížemi, kterým byl podáván přípravek Orblid. Hlavním měřítkem účinnosti bylo snížení srdečního indexu po 3 měsících, které může odrážet zlepšení funkce srdce.

Do druhé hlavní studie bylo zařazeno 24 dospělých s formou onemocnění, která způsobuje závažné krvácení a u pacientů vyžaduje transfuze nebo podání železa do žíly. Každé dva týdny jim bylo podáno 6 infuzí buď přípravku Orblid, nebo placebo (neúčinného přípravku). Hlavním měřítkem účinnosti byl podíl pacientů, u kterých došlo během 3 až 6 měsíců po zahájení léčby k poklesu počtu transfuzí červených krvinek alespoň o 50 %, v porovnání s 3měsíčním obdobím před zahájením léčby.

Společnost rovněž předložila údaje o používání bevacizumabu u pacientů s hereditární hemoragickou teleangiectázií z publikované literatury.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Žádost byla stažena poté, co Evropská agentura pro léčivé přípravky posoudila výchozí dokumentaci předloženou společností a vypracovala otázky pro společnost. V době stažení žádosti nebyly tyto otázky společností zodpovězeny.

Jaké bylo doporučení agentury v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů měla agentura v době stažení žádosti určité pochybnosti a její prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Orblid nemůže být schválen k léčbě hereditární hemoragické teleangiectázie.

Hlavní studie, která hodnotila přípravek Orblid u pacientů se závažným poškozením jater, ani podpůrné studie neporovnávaly léčivý přípravek s jinou léčbou ani s placebem a vykazovaly určitá vědecká omezení, například použití jiných terapeutických zásahů před zahájením studie nebo v jejím průběhu, což ztěžovalo vyvození závěru o účinnosti přípravku. Hlavní měřítko účinnosti, srdeční index, se navíc nepovažuje za nezávislý a spolehlivý ukazatel léčebného účinku, protože může být ovlivněno jinými faktory, včetně celkového zdravotního stavu pacienta a přirozených výkyvů v rámci onemocnění.

Studie u pacientů se závažnou hemoragickou formou onemocnění neprokázala vliv přípravku Orblid na počet krevních transfuzí, které pacienti vyžadovali. Ani výsledky podpůrných studií neposkytly důkazy o účinnosti tohoto léčivého přípravku.

Z hlediska bezpečnosti je o léčivé látce bevacizumab známo, že je spojena se závažnými nežádoucími účinky při léčbě nádorových onemocnění, a údaje předložené k přípravku Orblid byly příliš omezené na to, aby bylo možné vyvodit závěr o bezpečnosti přípravku u pacientů s hereditární hemoragickou teleangiektázií, zejména z dlouhodobého hlediska.

V neposlední řadě panovala nejistota ohledně předložených údajů týkajících se nejvhodnější dávky a intervalu dávkování.

Agentura proto v době stažení žádosti zastávala názor, že společnost neposkytla dostatek údajů na podporu své žádosti o registraci přípravku Orblid.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že svou žádost stahuje proto, že agentura identifikovala závažné klinické problémy, které lze řešit pouze provedením nové klinické studie.

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala agenturu, že neprobíhají žádné klinické studie ani programy, v nichž je přípravek Orblid podáván v rámci léčby z humanitních důvodů.