



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Orblid (bevacizumab)

Laboratoires Delbert har tilbagetrukket sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Orblid til behandling af arvet hæmorrhagisk telangiectasi, en genetisk sygdom, der forårsager abnormiteter i blodkarrene (små blodkar, der forbinder arterierne med venerne).

Virksomheden trak ansøgningen tilbage den 20. april 2026.

Hvad er Orblid, og hvad forventedes det anvendt til?

Orblid blev udviklet som et lægemiddel til behandling af voksne med arvet hæmorrhagisk telangiectasi, som har:

- svære leverskader, der forårsager hjerteproblemer, såsom belastning af hjertet på grund af højt flow, hvilket fører til vedvarende åndenød på trods af tilstrækkelig behandling
- eller en form af sygdommen, der forårsager svær blødning (med næseblod eller blødning i mave-tarmkanalen), og som kræver blodtransfusioner eller jern givet i en vene.

De mest almindelige symptomer på sygdommen er spontane og hyppige næseblødninger og røde pletter på huden. Blødning kan også forekomme i mave, tarm, hjerne, lever og lunger og fører ofte til et lavt antal røde blodlegemer (anæmi).

Orblid indeholder det aktive stof bevacizumab og skulle markedsføres som en infusion (drop) givet gennem en vene. Bevacizumab har været godkendt i EU siden 2005 i kombination med andre lægemidler til behandling af forskellige former for kræft. Ansøgningen vedrørte således anvendelsen af et velkendt aktivt stof i en ny indikation.

Orblid blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 16. december 2014 til behandling af arvet hæmorrhagisk telangiectasi. Der findes mere information om lægemidler til sjældne sygdomme på EMA's websted: www.ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-14-1390.

Hvordan virker Orblid?

Patienter med arvet hæmorrhagisk telangiectasi har en genetisk mutation (defekt), der fører til høje niveauer af VEGF (vaskulær endotelial vækstfaktor), et protein, der medvirker til væksten af blodkar.

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



Dette medfører unormal blodkarvækst, som medfører direkte forbindelser mellem arterier og vener, hvilket øger blødningsrisikoen.

Det aktive stof i Orblid, bevacizumab, er et monoklonalt antistof (en type protein), der er designet til at genkende og binde sig til VEGF og blokere dets virkning. Ved at blokere VEGF forventes bevacizumab at forebygge væksten af unormale blodkar, hvilket lindrer symptomerne på blødning ved arvelig hæmorrhagisk telangiectasi.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden fremlagde resultaterne af to hovedstudier. Det første omfattede 25 voksne med arvelig hæmorrhagisk telangiectasi med svære leverskader og hjerteproblemer, som alle fik Orblid. Virkningen blev hovedsageligt bedømt på en mindsning af hjerteindekset efter 3 måneder, hvilket kan afspejle en forbedring af hjertefunktionen.

Det andet hovedstudie omfattede 24 voksne med en form af sygdommen, der forårsager svær blødning, hvilket kræver transfusioner eller jern givet gennem en vene. De fik 6 infusioner af enten Orblid eller placebo (en uirksom behandling) hver 2. uge. Virkningen blev hovedsageligt bedømt på andelen af patienter med et fald på mindst 50 % i antallet af transfusioner af røde blodlegemer i en periode på tre til seks måneder efter behandlingsstart, sammenlignet med tre måneder før behandlingsstart.

Virksomheden fremlagde også offentliggjorte data fra litteraturen om anvendelsen af bevacizumab hos patienter med arvelig hæmorrhagisk telangiectasi.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at Det Europæiske Lægemiddelagentur havde vurderet den dokumentation, som virksomheden oprindeligt havde fremlagt, og udarbejdet en liste med spørgsmål til virksomheden. Virksomheden havde endnu ikke besvaret spørgsmålene, da ansøgningen blev trukket tilbage.

Hvad anbefalede agenturet på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde agenturet visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Orblid ikke kunne være blevet godkendt til behandling af arvelig hæmorrhagisk telangiectasi.

I hovedstudiet, hvor Orblid blev vurderet hos patienter med svær leverskade, og i de understøttende studier blev lægemidlet ikke sammenlignet med en anden behandling eller placebo, og der var en række videnskabelige begrænsninger, såsom brugen af andre terapeutiske behandlinger før eller under studiet, som gjorde det vanskeligt at drage konklusioner om lægemidlets virkning. Desuden anses det primære mål for virkning, hjerteindekset, ikke for at være et uafhængigt, pålideligt mål for behandlingseffekten, da det kan påvirkes af andre faktorer, herunder patientens generelle helbredstilstand og naturlige variationer af sygdommen.

Studiet af patienter med en svær hæmorrhagisk form af sygdommen viste ingen effekt af Orblid på det antal blodtransfusioner, der kræves. Resultaterne af de understøttende studier gav heller ikke evidens for lægemidlets virkning.

Hvad sikkerheden angår, vides det aktive stof bevacizumab at være forbundet med alvorlige bivirkninger ved behandling af kræft, og de data, der blev givet for Orblid, var for begrænsede til, at der kunne drages konklusioner om lægemidlets sikkerhed hos patienter med hereditær hæmorigisk telangiectasi, navnlig på lang sigt.

Endelig var der usikkerhed med hensyn til de fremlagte data vedrørende den mest hensigtsmæssige dosis og det mest hensigtsmæssige doseringsinterval.

Derfor var agenturet på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at virksomheden ikke havde fremlagt tilstrækkelige oplysninger til at underbygge ansøgningen om Orblid.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den trak sin ansøgning tilbage, da agenturet havde påpeget større kliniske problemer, som kun kunne løses ved at gennemføre et nyt klinisk studie.

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske forsøg eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har til agenturet oplyst, at der i øjeblikket ikke gennemføres kliniske forsøg med Orblid eller programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse for Orblid.