



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Orblid-valmistetta (bevasitsumabi) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Laboratoires Delbert peruutti Orblid-valmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa. Lääkevalmiste oli tarkoitettu perinnöllisen verenvuotoisen teleangiektasian hoitoon. Kyseinen geneettinen sairaus aiheuttaa poikkeavuutta hiussuonissa (verisuonissa, jotka yhdistävät valtimoita ja laskimoita).

Yhtiö peruutti hakemuksen 20. huhtikuuta 2026.

Mitä Orblid on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Orblid kehitettiin lääkkeeksi perinnöllistä verenvuotoista teleangiektasiaa sairastaville aikuisille, joilla on

- vaikea maksavaurio, joka aiheuttaa sydänongelmia, kuten sydämeen kohdistuvaa suurta virtausrasitusta, joka johtaa jatkuvaan hengenahdistukseen asianmukaisesta hoidosta huolimatta
- tai vakavaa verenvuotoa (nenäverenvuotoja tai ruuansulatuskanavan verenvuotoa) aiheuttava sairaus, joka vaatii verensiirtoja tai suoneen annettavaa rautalisää.

Taudin yleisimmät oireet ovat spontaanit ja usein toistuvat nenäverenvuodot sekä punaiset pisteet iholla. Verenvuotoa voi esiintyä myös mahassa, suolistossa, aivoissa, maksassa ja keuhkoissa, ja se johtaa usein anemiaan (punasolujen vähyyteen).

Orblidin vaikuttava aine on bevasitsumabi, ja sitä oli määrä olla saatavana laskimoon (tiputuksena) annettavana infuusiona. Bevasitsumabi hyväksyttiin EU:ssa vuonna 2005 käytettäväksi muiden syöpäsairauksien hoitoon tarkoitettujen lääkkeiden kanssa. Tämä hakemus koski tunnetun vaikuttavan aineen käyttöä uudessa käyttöaiheessa.

Orblid nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 16. joulukuuta 2014 perinnöllisen verenvuotoisen teleangiektasian hoitoon. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-14-1390.



Miten Orblid vaikuttaa?

Perinnöllistä verenvuotoista teleangiektasiaa sairastavilla potilailla on geneettinen mutaatio (muutos), joka johtaa suuriin VEGF-pitoisuuksiin (endoteelikasvutekijä). VEGF on proteiini, joka osallistuu verisuonten kasvuun. Tämä aiheuttaa verisuonten epänormaalia kasvua. Sen tuloksena syntyy suoria yhteyksiä valtimoiden ja laskimoiden välillä, jolloin verenvuodon riski kasvaa.

Orblidin vaikuttava aine bevasitsumabi on monoklonaalinen vasta-aine (proteiinin tyyppi), joka on suunniteltu tunnistamaan VEGF ja kiinnittymään siihen sekä estämään sen toiminnan. Estämällä VEGF:n toimintaa bevasitsumabin odotetaan estävän poikkeavien verisuonten kasvua ja siten lievittävän verenvuodon oireita perinnöllisessä verenvuotoisessa teleangiektasiassa.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitteli tulokset kahdesta päätutkimuksesta. Ensimmäiseen tutkimukseen osallistui 25 perinnöllistä verenvuotoista teleangiektasiaa sairastavaa aikuista, joilla oli vaikea-asteisia maksavaurioita ja sydänongelmia ja jotka kaikki saivat Orblidia. Tehon pääasiallisena mittana oli sydämen minuuttitilavuusindeksin aleneminen kolmen kuukauden kuluttua, mikä voi kuvastaa paranemista sydämen toiminnassa.

Toiseen päätutkimukseen osallistui 24 aikuista, joilla oli vaikeaa verenvuotoa aiheuttava sairaus ja jotka tarvitsivat verensiirtoja tai rautaa laskimoon annettuna. He saivat kuusi infuusiota joko Orblid-valmistetta tai lumelääkettä kahden viikon välein. Tehon pääasiallisena mittana oli sellaisten potilaiden osuus, joille annettiin punasolusiirtoja vähintään 50 prosenttia vähemmän 3–6 kuukauden aikana hoidon aloittamisen jälkeen verrattuna hoidon aloittamista edeltäneeseen kolmen kuukauden ajanjaksoon.

Yhtiö toimitti myös julkaistuja kirjallisuustietoja bevasitsumabin käytöstä perinnöllistä verenvuotoista teleangiektasiaa sairastavilla potilailla.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun Euroopan lääkevirasto oli arvioinut yhtiön alkuvaiheessa toimittamat tiedot ja laatinut kysymyksiä yhtiölle. Yhtiö ei ollut vielä vastannut näihin kysymyksiin, kun hakemus peruutettiin.

Mikä oli viraston suositus tuolloin?

Saamiensa tietojen perusteella virastolla oli joitakin huolenaiheita, kun hakemus peruutettiin, ja sen alustavana kantana oli, että Orblidia ei olisi voitu hyväksyä perinnöllisen verenvuotoisen teleangiektasian hoitoon.

Päätutkimuksessa, jossa Orblidia arvioitiin potilailla, joilla oli vakava maksavaurio, sekä tukea antavissa tutkimuksissa lääkettä ei verrattu toiseen hoitoon tai lumelääkkeeseen. Lisäksi tutkimuksissa oli useita tieteellisiä rajoituksia, jotka liittyivät esimerkiksi muihin hoitointerventioihin ennen tutkimusta tai sen aikana, mikä vaikeutti päätelmien tekemistä lääkkeen vaikutuksesta. Lisäksi tehon pääasiallista mittaa eli sydämen minuuttitilavuusindeksiä ei pidetä riippumattomana ja luotettavana hoitovaikutuksen mittana, koska siihen voivat vaikuttaa muut tekijät, kuten potilaan yleinen terveydentila ja luonnolliset vaihtelut sairaudessa.

Tutkimuksessa, johon osallistui vaikeaa verenvuotoista muotoa sairastavia potilaita, ei pystytty osoittamaan Orblidin vaikutusta tarvittavien verensiirtojen määrään. Myöskään tukea antavien tutkimusten tulokset eivät antaneet näyttöä lääkkeen tehosta.

Turvallisuuden osalta vaikuttava aine bevasitsumabin tiedetään liittyvän vakaviin haittavaikutuksiin syövän hoidossa. Orblidista toimitettujen tietojen katsottiinkin olevan liian rajalliset päätelmien tekemiseksi etenkin pitkällä aikavälillä lääkkeen turvallisuudesta potilailla, joilla on perinnöllinen verenvuotoinen teleangiektasia.

Lisäksi tietoihin asianmukaisimmasta annoksesta ja annosvälistä liittyi epävarmuutta.

Siksi virasto katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ettei yhtiö ollut toimittanut riittävästi tietoa Orblid-valmistetta koskevan myyntilupahakemuksen tueksi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa syyksi sen, että virasto on havainnut merkittäviä kliinisiä ongelmia, jotka voidaan ratkaista vain tekemällä uusi kliininen tutkimus.

Vaikuttaako hakemuksen peruuttaminen kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, ettei Orblidia koskevia kliinisiä tutkimuksia tai erityiskäyttöohjelmia ole käynnissä.