



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Az Orblid-ra (bevacizumab) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

A Laboratoires Delbert visszavonta a kapillárisokban (az artériákat a vénákkal összekötő kis véregekben) rendellenességeket okozó genetikai betegség, az örökletes vérzéses telangiektázia kezelésére szánt Orblid-ra vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelmét.

A vállalat 2026. április 20-án vonta vissza a kérelmet.

Milyen típusú gyógyszer az Orblid és milyen alkalmazásra szánták?

Az Orblid-ot olyan, örökletes vérzéses telangiektáziában szenvedő felnőttek kezelésére fejlesztették ki, akiknél a következő állapotok valamelyike fennáll:

- olyan szívproblémákat okozó súlyos májkárosodás, mint például a szív nagy áramlás általi megterhelése, ami megfelelő kezelés ellenére is tartós légszomjhoz vezet;
- vagy a betegség súlyos vérzést (orrvérzés vagy emésztőrendszeri vérzés) okozó formája, amely vérátömlesztést vagy vénán keresztül adott vaspótlást igényel.

A betegség leggyakoribb tünetei a spontán és gyakori orrvérzés, valamint a bőrön megjelenő vörös foltok. Vérzés alakulhat ki a gyomorban, a belekben, az agyban, a májban és a tüdőben is, ami gyakran vérszegénységhez (alacsony vörösvérsejtszám) vezet.

Az Orblid hatóanyaga a bevacizumab, és vénába adandó infúzió formájában forgalmazták volna. A bevacizumabot 2005 óta egyéb gyógyszerekkel kombinációban alkalmazzák az EU-ban különböző daganatos betegségek kezelésére. Így ez a kérelem egy jól ismert hatóanyag új javallatban történő alkalmazására irányult.

Az Orblid-ot 2014. december 16-án az örökletes vérzéses telangiektázia tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-14-1390.



Hogyan fejti ki hatását az Orblid?

Az örökletes vérzéses telangiektáziában szenvedő betegek genetikai mutációt (hibát) hordoznak, amely a vérerek növekedésében szerepet játszó fehérje, a VEGF (vaszkuláris endoteliális növekedési faktor) magas szintjét eredményezi. Ez a vérerek rendellenes növekedését okozza, ami az artériák és a vénák közvetlen összekapcsolódásához vezet, növelve a vérzés kockázatát.

Az Orblid hatóanyaga, a bevacizumab egy monoklonális antitest (egy fehérjetípus), amelyet úgy alakítottak ki, hogy felismerje a VEGF-et, és ahhoz kötődve gátolja annak hatását. A VEGF gátlása révén a bevacizumab várhatóan megakadályozza a rendellenes vérerek növekedését, így enyhíti az örökletes vérzéses telangiektázia vérzéses tüneteit.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat 2 fő vizsgálat eredményeit mutatta be. Az első vizsgálatban 25, súlyos májkárosodással és szívproblémákkal járó örökletes vérzéses telangiektáziában szenvedő felnőttet Orblid-dal kezeltek. A hatásosság fő mutatója 3 hónap elteltével a szívindex csökkenése volt, ami a szívfunkció javulását tükrözheti.

A második fő vizsgálatban 24, olyan felnőtt vett részt, akik a betegség súlyos vérzést okozó formájában szenvedtek, és akik vérátömlesztést vagy vénába adott vaspótlást igényeltek. A betegek 2 hetente 6 Orblid- vagy placebo- (hatóanyag nélküli kezelés) infúziót kaptak. A hatásosság fő mutatója azoknak a betegeknek az aránya volt, akiknél a kezelés megkezdése utáni 3–6 hónapos időszakban legalább 50%-kal csökkent a vörösvérsejt-transzfúziók száma, a kezelés megkezdése előtti 3 hónapos időszakhoz viszonyítva.

A vállalat publikált szakirodalmi adatokat is benyújtott a bevacizumab örökletes vérzéses telangiektáziában szenvedő betegeknél történő alkalmazására vonatkozóan.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy az Európai Gyógyszerügynökség már értékelte a vállalat által eredetileg benyújtott dokumentációt, és kidolgozott egy kérdéslistát. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt a kérdésekre.

Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok áttekintése alapján az Ügynökség részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy az Orblid alkalmazása nem engedélyezhető az örökletes vérzéses telangiektázia kezelésére.

Az Orblid-ot súlyos májkárosodásban szenvedő betegek részvételével értékelő fő vizsgálat, valamint az alátámasztó vizsgálatok nem hasonlították össze a gyógyszert más kezeléssel vagy placebóval, és számos tudományos korlátjuk volt, mint például más terápiás beavatkozások alkalmazása a vizsgálat előtt vagy alatt, ami megnehezítette a gyógyszer hatására vonatkozó következtetések levonását. Ezenfelül a hatásosság fő mutatója, a szívindex nem tekinthető a kezelés hatása független, megbízható mérőszámának, mivel azt más tényezők befolyásolhatják, köztük a beteg általános egészségi állapota és a betegség természetes eltérései.

A betegség súlyos vérzéses formájában szenvedő betegekkel végzett vizsgálat nem igazolta az Orblid hatását a szükséges vérátömlesztések száma tekintetében. Az alátámasztó vizsgálatok eredményei sem szolgáltattak bizonyítékot a gyógyszer hatásosságára vonatkozóan.

Ami a biztonságosságot illeti, a bevacizumab hatóanyagról ismert, hogy súlyos mellékhatásokkal jár a daganatos betegségek kezelésében, és az Orblid-ra vonatkozóan benyújtott adatok túl korlátozottak voltak ahhoz, hogy következtetéseket lehessen levonni a gyógyszer biztonságosságáról örökletes vérzéses telangiektáziában szenvedő betegeknél, különösen hosszú távon.

Emellett bizonytalanságok merültek fel a benyújtott adatokkal kapcsolatban a legmegfelelőbb dózis és adagolási intervallum vonatkozásában.

Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség véleménye az volt, hogy a vállalat nem nyújtott be elegendő adatot az Orblid-ra vonatkozó kérelem alátámasztásához.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy azért vonta vissza kérelmét, mert az Ügynökség olyan fontos klinikai problémákat tárt fel, amelyek csak egy új klinikai vizsgálat elvégzésével kezelhetők.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy az Orblid-dal kapcsolatban jelenleg nincsenek folyamatban klinikai vizsgálatok vagy engedélyezés előtti kezelési programok.