



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 maja 2026 r.
EMA/112994/2026
EMA/H/C/006392

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu leku Orblid (bewacyzumab)

Firma Laboratoires Delbert wycofała wniosek o dopuszczenie do obrotu leku Orblid, który miał być stosowany w leczeniu dziedzicznej teleangiektazji krwotocznej, choroby genetycznej powodującej nieprawidłowości w naczyniach włosowatych (drobnych naczyniach krwionośnych łączących tętnice z żyłami).

Firma wycofała wniosek w dniu 20 kwietnia 2026 r.

Czym jest lek Orblid i w jakim celu miał być stosowany?

Orblid opracowano jako lek stosowany w leczeniu osób dorosłych z dziedziczną teleangiektazją krwotoczną, u których występuje:

- ciężkie uszkodzenie wątroby powodujące zaburzenia pracy serca, takie jak przeciążenie serca prowadzące do utrzymującej się duszności pomimo odpowiedniego leczenia;
- lub postać choroby wywołująca ciężkie krwawienie (z krwotokami z nosa lub krwawieniem trawiennym), które wymaga przetaczania krwi lub dożylnego podawania żelaza.

Najczęstsze objawy choroby to występowanie spontanicznych i częstych krwawień z nosa oraz czerwonych plam na skórze. Krwawienie może też występować w żołądku, jelitach, mózgu, wątrobie i płucach i często prowadzi do niedokrwistości (niskiej liczby krwinek czerwonych).

Substancją czynną zawartą w leku Orblid jest bewacyzumab. Lek Orblid miał być dostępny w postaci wlewu dożylnego (kroplówki). Bewacyzumab jest dopuszczony do obrotu w UE od 2005 r. w skojarzeniu z innymi lekami stosowanymi w leczeniu różnych nowotworów. W związku z tym wniosek ten dotyczył stosowania dobrze znanej substancji czynnej w nowym wskazaniu.

W dniu 16 grudnia 2014 r. lek Orblid uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu dziedzicznej teleangiektazji krwotocznej. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć na stronie Agencji: 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 działa lek Orblid?

U pacjentów z dziedziczną teleangiektazją krwotoczną występuje mutacja (wada) genetyczna, która prowadzi do występowania wysokiego stężenia VEGF (czynnika wzrostu śródbłonna naczyniowego), białka biorącego udział we wzroście naczyń krwionośnych. Prowadzi to do nieprawidłowego rozrostu naczyń krwionośnych, w wyniku czego powstają bezpośrednie połączenia między tętnicami a żyłami, co zwiększa ryzyko krwawień.

Substancja czynna leku Orblid, bewacyzumab, jest przeciwciałem monoklonalnym (rodzajem białka), które zostało opracowane w taki sposób, aby rozpoznawało czynnik VEGF i przyłączało się do niego oraz blokowało jego działanie. Należy się spodziewać, że bewacyzumab blokując VEGF będzie zapobiegał rozrostowi nieprawidłowych naczyń krwionośnych, łagodząc w ten sposób objawy krwawienia w przebiegu dziedzicznej teleangiektazji krwotocznej.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki dwóch badań głównych. W pierwszym z nich uczestniczyło 25 osób dorosłych z dziedziczną teleangiektazją krwotoczną z ciężkim uszkodzeniem wątroby i zaburzeniami pracy serca, którzy otrzymywali lek Orblid. Głównym kryterium oceny skuteczności było zmniejszenie wskaźnika sercowego po 3 miesiącach leczenia, co może świadczyć o poprawie czynności serca.

W drugim badaniu głównym wzięły udział 24 osoby dorosłe z postacią choroby powodującą ciężkie krwawienia, wymagające przetoczeń krwi lub podawania żelaza dożylnie. Pacjenci otrzymywali 6 wlewów leku Orblid lub placebo (leczenie pozorowane) co 2 tygodnie. Głównym kryterium oceny skuteczności był odsetek pacjentów, u których w okresie od 3 do 6 miesięcy po rozpoczęciu leczenia liczba przetoczeń krwinek czerwonych zmniejszyła się o co najmniej 50% w porównaniu z 3-miesięcznym okresem poprzedzającym rozpoczęcie terapii.

Firma przedstawiła również opublikowane dane literaturowe dotyczące stosowania bewacyzumabu u pacjentów z dziedziczną teleangiektazją krwotoczną

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez Europejską Agencję Leków oceny wstępnych informacji przedłożonych przez firmę i sformułowaniu pytań do firmy. Firma wycofała wniosek przed udzieleniem odpowiedzi na pytania.

Jakie zalecenia wydała wówczas Agencja?

W momencie wycofania wniosku Agencja zgłosiła zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i wstępna opinia wskazywała, że lek Orblid nie może być zatwierdzony w leczeniu dziedzicznego teleangiektazji krwotocznej.

W badaniu głównym oceniającym stosowanie leku Orblid u pacjentów z ciężkim uszkodzeniem wątroby oraz w badaniach uzupełniających nie porównywano leku z innym rodzajem leczenia ani z placebo. Ponadto miały one szereg ograniczeń metodologicznych, takich jak stosowanie innych interwencji terapeutycznych przed rozpoczęciem badania lub w jego trakcie, co utrudniało wyciągnięcie jednoznacznych wniosków dotyczących działania leku. Co więcej, głównego kryterium oceny skuteczności, którym jest wskaźnik sercowy, nie uznaje się za niezależną, wiarygodną miarę efektu leczenia, ponieważ mogą na niego wpływać inne czynniki, w tym ogólny stan zdrowia pacjenta i naturalny przebieg choroby.

W badaniu z udziałem pacjentów z ciężką krwotoczną postacią choroby nie wykazano wpływu leku Orblid na liczbę wymaganych przetoczeń krwi. Wyniki badań uzupełniających również nie dostarczyły dowodów na skuteczność leku.

Jeśli chodzi o bezpieczeństwo stosowania, wiadomo, że substancja czynna bewacyzumab wiąże się z występowaniem poważnych działań niepożądanych w leczeniu nowotworów, a dane przedstawione dla leku Orblid były zbyt ograniczone, aby można było wyciągnąć wnioski na temat bezpieczeństwa stosowania leku u pacjentów z dziedziczną teleangiektazją krwotoczną, zwłaszcza w perspektywie długoterminowej.

Ponadto pojawiły się wątpliwości co do przedstawionych danych dotyczących najbardziej odpowiedniej dawki i odstępu między kolejnymi dawkami.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem Agencji firma nie przedstawiła wystarczających danych uzasadniających wniosek o dopuszczenie leku Orblid do obrotu.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim [piśmie](#) powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofała swój wniosek z powodu zidentyfikowania przez Agencję istotnych problemów klinicznych, które mogły zostać rozwiązane jedynie poprzez przeprowadzenie nowego badania klinicznego.

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy”?

Firma powiadomiła Agencję, że nie trwają w tej chwili żadne badania kliniczne ani programy „leczenia ostatniej szansy” z zastosowaniem leku Orblid.