



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 mai 2026
EMA/112994/2026
EMA/H/C/006392

Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Orblid (bevacizumab)

Laboratoires Delbert și-a retras cererea de autorizare de punere pe piață pentru Orblid, destinat tratamentului telangiectaziei hemoragice ereditare, o boală genetică ce cauzează anomalii ale capilarelor (vase mici de sânge care conectează arterele cu venele).

Compania și-a retras cererea la 20 aprilie 2026.

Ce este Orblid și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Orblid a fost dezvoltat ca medicament pentru tratamentul adulților cu telangiectazie hemoragică ereditară care au:

- leziuni hepatice severe ce determină complicații cardiace, cum ar fi suprasolicitarea cardiacă prin debit crescut, manifestată prin dispnee persistentă în pofida tratamentului adecvat
- sau o formă a bolii care determină hemoragii severe (epistaxis sau hemoragii digestive), care necesită transfuzii de sânge sau administrarea intravenoasă de fier.

Cele mai frecvente simptome ale bolii sunt epistaxis spontan și frecvent și pete roșii pe piele. De asemenea, pot apărea sângerări la nivelul stomacului, intestinelor, creierului, ficatului și plămânilor, care duc frecvent la anemie (număr mic de globule roșii).

Orblid conține substanța activă bevacizumab și urma să fie disponibil sub formă de perfuzie intravenoasă (picurare în venă). Bevacizumabul este aprobat în UE din 2005 în asociere cu alte medicamente pentru tratamentul diferitelor tipuri de cancer. Prin urmare, cererea a vizat utilizarea unei substanțe active bine cunoscute într-o indicație terapeutică nouă.

Orblid a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la data de 16 decembrie 2014 pentru telangiectazia hemoragică ereditară. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției:

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



Cum acționează Orblid?

Pacienții cu telangiectazie hemoragică ereditară au o mutație genetică (un defect genetic) care determină niveluri mari de VEGF (factorul de creștere a endoteliului vascular), o proteină implicată în formarea vaselor de sânge. Acest lucru determină creșterea anormală a vaselor de sânge, ceea ce duce la formarea unor conexiuni directe între artere și vene, măbind astfel riscul de sângerare.

Substanța activă din Orblid, bevacizumabul, este un anticorp monoclonal (un tip de proteină) care a fost conceput să recunoască și să se lege de VEGF și să-i blocheze acțiunea. Se preconizează că, prin blocarea VEGF, bevacizumabul previne dezvoltarea de vase de sânge anormale, ameliorând astfel simptomele sângerărilor în telangiectazia hemoragică ereditară.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat rezultatele obținute din două studii principale. Primul studiu a cuprins 25 de adulți cu telangiectazie hemoragică ereditară, cu leziuni hepatice severe și probleme cardiace, cărora li s-a administrat Orblid. Principalul criteriu de evaluare a eficacității a fost reducerea indicelui cardiac după 3 luni, ceea ce poate reflecta o îmbunătățire a funcției cardiace.

Al doilea studiu principal a cuprins 24 de adulți cu o formă a bolii care cauzează sângerări severe și care necesită transfuzii de sânge sau administrarea intravenoasă de fier. Acestora li s-au administrat 6 perfuzii fie cu Orblid, fie cu placebo (un preparat inactiv), o dată la 2 săptămâni. Principalul criteriu de evaluare a eficacității a fost procentul de pacienți la care numărul de transfuzii de concentrat eritocitar a scăzut cu cel puțin 50 % în perioada cuprinsă între 3 și 6 luni de la începerea tratamentului, comparativ cu perioada de 3 luni anterioară inițierii tratamentului.

De asemenea, compania a prezentat date din literatura de specialitate publicată despre utilizarea bevacizumabului la pacienții cu telangiectazie hemoragică ereditară.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce Agenția Europeană pentru Medicamente evaluase documentația inițială prezentată de companie și formulase întrebări pentru aceasta. În momentul retragerii cererii, compania nu răspunsese încă la întrebări.

Care a fost recomandarea agenției în momentul respectiv?

Pe baza analizării datelor, în momentul retragerii cererii, agenția avea motive de îngrijorare și a dat un aviz provizoriu potrivit căruia Orblid nu putea fi aprobat pentru tratamentul telangiectaziei hemoragice ereditare.

Studiul principal care a evaluat Orblid la pacienți cu leziuni hepatice severe, precum și studiile de susținere nu au comparat medicamentul cu un alt tratament sau cu placebo și au avut mai multe limitări din punct de vedere științific, cum ar fi utilizarea altor intervenții terapeutice înainte de începerea studiului sau în timpul lui, ceea ce a îngreunat formularea unei concluzii privind efectul medicamentului. În plus, principalul criteriu de evaluare a eficacității, indicele cardiac, nu este considerat o măsură independentă și fiabilă a efectului tratamentului, deoarece poate fi influențat de alți factori, de exemplu de starea generală de sănătate a pacientului și de variațiile naturale ale bolii.

Studiul efectuat la pacienți cu formă hemoragică severă a bolii nu a reușit să demonstreze un efect al Orblid asupra numărului de transfuzii de sânge necesare. Nici rezultatele studiilor de susținere nu au furnizat dovezi privind eficacitatea medicamentului.

În ceea ce privește siguranța, se știe că substanța activă bevacizumab este asociată cu reacții adverse grave când este utilizată în tratamentul cancerului, iar datele furnizate pentru Orblid erau prea limitate pentru a permite formularea unei concluzii privind siguranța medicamentului la pacienții cu telangiectazie hemoragică ereditară, în special în cazul utilizării pe termen lung.

În sfârșit, au existat incertitudini cu privire la datele furnizate despre cea mai adecvată doză și cel mai adecvat interval de dozare.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia agenției, compania nu prezentase suficiente date în sprijinul cererii pentru autorizarea Orblid.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În [scrisoarea](#) prin care înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că și-a retras cererea din cauza identificării de către agenție a unor probleme clinice majore care ar putea fi soluționate doar prin efectuarea unui nou studiu clinic.

Retragerea acestei cereri afectează pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?

Compania a informat agenția că nu sunt în derulare studii clinice sau programe de uz compasional cu Orblid.