



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Orblid (bevacizumab)

Spoločnosť Laboratoires Delbert stiahla svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Orblid na trh, ktorý je určený na liečbu hereditárnej hemoragickej telangiektázie, čo je genetické ochorenie, ktoré spôsobuje abnormality v kapilárach (malých krvných cievach, ktoré spájajú tepny so žilami).

Spoločnosť stiahla žiadosť 20. apríla 2026.

Čo je liek Orblid a aké bolo jeho predpokladané použitie?

Liek Orblid bol vyvinutý ako liek na liečbu dospelých s hereditárnou hemoragickou telangiektáziou, ktorí majú:

- závažné poškodenie pečene spôsobujúce problémy so srdcom, napríklad tlak na srdce s vysokým prietokom, ktorý vedie k pretrvávajúcej dýchavičnosti napriek primeranej liečbe,
- alebo formu ochorenia, ktorá spôsobuje závažné krvácanie (krvácanie z nosa alebo krvácanie z tráviaceho traktu), ktoré si vyžaduje krvné transfúzie alebo železo podávané cez žilu.

Najčastejšími príznakmi ochorenia sú spontánne a časté krvácanie z nosa a červené škvrny na koži. Krvácanie sa môže vyskytnúť aj v žalúdku, črevách, mozgu, pečeni a pľúcach a často vedie k anémii (nízkemu počtu červených krviniek).

Liek Orblid obsahuje liečivo bevacizumab a mal byť dostupný vo forme infúzie (na kvapkanie) podávanej cez žilu. Bevacizumab je v EÚ povolený od roku 2005 v kombinácii s inými liekmi na liečbu rôznych druhov rakoviny. Táto žiadosť sa teda týkala použitia známeho liečiva v novej indikácii.

Liek Orblid bol 16. decembra 2014 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu dedičnej hemoragickej telangiektázie. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na ojedinelé ochorenia sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-14-1390.



Akým spôsobom liek Orblid účinkuje?

Pacienti s hereditárnou hemoragickou telangiektáziou majú genetickú mutáciu (vadu), ktorá vedie k vysokým hladinám VEGF (vaskulárneho endoteliálneho rastového faktora), proteínu, ktorý sa podieľa na raste krvných ciev. To spôsobuje abnormálny rast krvných ciev, čo vedie k priamym spojeniam medzi tepnami a žilami, čím sa zvyšuje riziko krvácania.

Liečivo lieku Orblid, bevacizumab, je monoklonálna protilátka (druh proteínu), ktorá bola vytvorená tak, aby rozpoznala VEGF, naviazala sa naň a zablokovala jeho účinok. Predpokladá sa, že zablokovaním VEGF bevacizumab zabráni rastu abnormálnych krvných ciev, čím zmierni príznaky krvácania pri hereditárnej hemoragickej telangiektázii.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky z dvoch hlavných štúdií. Na prvej štúdii sa zúčastnilo 25 dospelých s hereditárnou hemoragickou telangiektáziou so závažným poškodením pečene a srdcovými problémami, ktorí všetci dostávali liek Orblid. Hlavným meradlom účinnosti bolo zníženie srdcového indexu po troch mesiacoch, čo môže odrážať zlepšenie funkcie srdca.

Na druhej hlavnej štúdii sa zúčastnilo 24 dospelých s formou ochorenia, ktoré spôsobuje závažné krvácanie a ktorí potrebovali transfúzie alebo železo podávané cez žilu. Každé dva týždne im bolo podaných 6 infúzií lieku Orblid alebo placebo (zdanlivého lieku). Hlavným meradlom účinnosti bol podiel pacientov, u ktorých sa znížil počet transfúzií červených krviniek aspoň o 50 % v období troch až šiestich mesiacov po začatí liečby, v porovnaní s trojmesačným obdobím pred začatím liečby.

Spoločnosť predložila aj uverejnené údaje z literatúry o používaní bevacizumabu u pacientov s hereditárnou hemoragickou telangiektáziou.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola vzatá späť potom, ako Európska agentúra pre lieky vyhodnotila pôvodnú dokumentáciu, ktorú spoločnosť predložila, a vypracovala zoznam otázok pre spoločnosť. Spoločnosť v čase späťvzatia žiadosti ešte nepredložila odpovede na otázky.

Aké bolo v tom čase odporúčanie agentúry?

Na základe preskúmania údajov mala agentúra v čase stiahnutia žiadosti výhrady a dospela k predbežnému stanovisku, že liek Orblid nemôže byť povolený na liečbu hereditárnej hemoragickej telangiektázie.

V hlavnej štúdii, v ktorej sa hodnotil liek Orblid u pacientov so závažným poškodením pečene, ako aj v podporných štúdiách sa liek neporovnával s inou liečbou alebo placebom a bolo v nich niekoľko vedeckých obmedzení, ako napríklad použitie iných terapeutických zákrokov pred štúdiou alebo počas nej, čo sťažilo vyvodenie záveru o účinku lieku. Okrem toho sa hlavné meradlo účinnosti, srdcový index, nepovažuje za nezávislé a spoľahlivé meradlo účinku liečby, pretože môže byť ovplyvnené inými faktormi vrátane celkového zdravotného stavu pacienta a prirodzených zmien ochorenia.

V štúdii, na ktorej sa zúčastnili pacienti so závažnou hemoragickou formou ochorenia, sa nepreukázal účinok lieku Orblid na počet požadovaných transfúzií krvi. Ani výsledky podporných štúdií neposkytli dôkazy o účinnosti lieku.

Pokiaľ ide o bezpečnosť, je známe, že liečivo bevacizumab súvisí so závažnými vedľajšími účinkami pri liečbe rakoviny a údaje predložené pre liek Orblid boli príliš obmedzené na to, aby sa mohol vyvodiť záver o bezpečnosti lieku u pacientov s hereditárnou hemoragickou telangiektáziou, najmä z dlhodobého hľadiska.

Okrem toho existovali nejasnosti v súvislosti s predloženými údajmi o najvhodnejšej dávke a intervale podávania.

Agentúra v čase stiahnutia žiadosti zastávala názor, že spoločnosť nepredložila dostatočné údaje na podporu žiadosti pre liek Orblid.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že svoju žiadosť stiahla z dôvodu, že agentúra identifikovala závažné klinické problémy, ktoré možno riešiť len vykonaním novej klinickej štúdie.

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala agentúru, že neprebiehajú žiadne klinické skúšania ani programy na použitie lieku Orblid v naliehavých prípadoch.