



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Orblid (bevacizumab)

Podjetje Laboratoires Delbert je umaknilo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Orblid za zdravljenje dedne hemoragične telangiektazije, tj. genetske bolezni, ki povzroča nepravilnosti v kapilarah (drobnih krvnih žilah, ki arterije povezujejo z venami).

Podjetje je vlogo umaknilo 20. aprila 2026.

Kaj je zdravilo Orblid in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Orblid je bilo razvito kot zdravilo za zdravljenje odraslih z dedno hemoragično telangiektazijo, ki imajo:

- hude poškodbe jeter, ki povzročajo težave s srcem, kot je obremenitev srca z velikim pretokom krvi, kar kljub ustreznemu zdravljenju vodi do stalne zasoplosti;
- ali obliko bolezni, ki povzroča hude krvavitve (s krvavitvami iz nosu ali prebavil), ki zahtevajo transfuzije krvi ali dodajanje železa z injiciranjem v veno.

Najpogostejši simptomi bolezni so spontane in pogoste krvavitve iz nosu ter rdeče lise na koži. Krvavitev se lahko pojavi tudi v želodcu, črevesju, možganih, jetrih in pljučih ter pogosto povzroči anemijo (nizko raven rdečih krvnih celic).

Zdravilo Orblid vsebuje učinkovino bevacizumab in naj bi bilo na voljo v obliki infuzije (kapalne infuzije) v veno. Bevacizumab je v EU odobren od leta 2005 v kombinaciji z drugimi zdravili za zdravljenje različnih vrst raka. Zato se je ta vloga nanašala na uporabo dobro znane učinkovine pri novi indikaciji.

Zdravilo Orblid je bilo 16. decembra 2014 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje dedne hemoragične telangiektazije. Več informacij o zdravilih sirotah je voljo na spletni strani agencije: 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



Kako zdravilo Orblid deluje?

Bolniki z dedno hemoragično telangiektazijo imajo gensko mutacijo (okvaro), ki povzroča visoke ravni VEGF (žilnega endotelijskega rastnega faktorja), tj. beljakovine, ki sodeluje pri rasti krvnih žil. To povzroča nenormalno rast krvnih žil, kar vodi v vzpostavitev neposrednih povezav med arterijami in venami, s čimer se poveča tveganje za krvavitve.

Učinkovina v zdravilu Orblid, bevacizumab, je monoklonsko protitelo (vrsta beljakovine), ki je bilo zasnovano tako, da prepozna beljakovino VEGF in se veže nanjo ter zavira njeno delovanje.

Bevacizumab naj bi z zaviranjem beljakovine VEGF preprečil rast nenormalnih krvnih žil in s tem ublažil simptome krvavitve pri dedni hemoragični telangiektaziji.

Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predstavilo rezultate dveh glavnih študij. V prvo študijo je bilo vključenih 25 odraslih z dedno hemoragično telangiektazijo s hudo okvaro jeter in težavami s srcem, ki so vsi prejeli zdravilo Orblid. Glavno merilo učinkovitosti je bilo znižanje srčnega indeksa po treh mesecih, kar lahko kaže na izboljšanje delovanja srca.

V drugo glavno študijo je bilo vključenih 24 odraslih z obliko bolezni, ki povzroča hude krvavitve in zahteva transfuzije krvi ali dodajanje železa v veno. Udeleženci študije so vsaka dva tedna prejeli šest infuzij zdravila Orblid ali placeba (zdravila brez učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bil delež bolnikov, pri katerih se je število transfuzij rdečih krvnih celic v treh do šestih mesecih po začetku zdravljenja zmanjšalo za vsaj 50 % v primerjavi s trimesečnim obdobjem pred začetkom zdravljenja.

Podjetje je predložilo tudi podatke iz objavljene literature o uporabi bevacizumaba pri bolnikih z dedno hemoragično telangiektazijo.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je agencija EMA že ocenila začetno dokumentacijo, ki jo je predložilo podjetje, in oblikovala seznam vprašanj. Podjetje ob umiku vloge še ni odgovorilo na zastavljena vprašanja.

Kakšno je bilo takrat priporočilo agencije?

Agencija je na podlagi pregleda podatkov ob umiku vloge izrazila zadržke in je začasno menila, da zdravilo Orblid ni mogoče odobriti za zdravljenje dedne hemoragične telangiektazije.

V glavni študiji, v kateri so zdravilo Orblid ocenjevali pri bolnikih s hudo okvaro jeter, in podpornih študijah zdravila niso primerjali z drugim zdravilom ali placebom, poleg tega pa je bilo ugotovljenih več znanstvenih omejitev, kot je denimo uporaba drugih terapevtskih posegov pred študijo ali med njo, kar je otežilo sklepanje o učinku zdravila. Poleg tega se glavno merilo učinkovitosti, tj. srčni indeks, ne šteje za neodvisno, zanesljivo merilo učinka zdravljenja, saj lahko nanj vplivajo tudi drugi dejavniki, vključno s splošnim zdravstvenim stanjem bolnika in naravnimi variacijami bolezni.

Študija pri bolnikih s hudo hemoragično obliko bolezni ni pokazala učinka zdravila Orblid na število potrebnih transfuzij krvi. Tudi rezultati podpornih študij niso zagotovili dokazov o učinkovitosti zdravila.

Z vidika varnosti je znano, da je učinkovina bevacizumab pri zdravljenju raka povezana z resnimi neželenimi učinki, podatki, predloženi za zdravilo Orblid, pa so bili preveč omejeni, da bi lahko sklepali o varnosti zdravila pri bolnikih z dedno hemoragično telangiektazijo, zlasti z dolgoročnega vidika.

Prav tako so obstajale negotovosti glede predloženih podatkov o najprimernejšem odmerku in intervalu odmerjanja.

Zato je agencija ob umiku vloge menila, da podjetje ni predložilo zadostnih podatkov v podporo vlogi za zdravilo Orblid.

Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?

Podjetje je v [dopisu](#), s katerim je agencijo obvestilo o umiku vloge, navedlo, da se je za umik vloge odločilo, ker je agencija ugotovila pomembne klinične zadržke, ki bi jih bilo mogoče odpraviti le z izvedbo nove klinične študije.

Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?

Podjetje je agencijo obvestilo, da trenutno ne potekajo klinična preskušanja ali programi sočutne uporabe zdravila Orblid.