



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Orblid (bevacizumab)

Laboratoires Delbert återkallade sin ansökan om godkännande för försäljning av Orblid för behandling av ärftlig hemorragisk telangiectasi, en genetisk sjukdom som orsakar avvikelser i kapillärerna (små blodkärl som förbinder artärerna med venerna).

Företaget återkallade sin ansökan den 20 april 2026.

Vad är Orblid och vad skulle det användas för?

Orblid togs fram som ett läkemedel för behandling av vuxna med ärftlig hemorragisk telangiectasi med

- allvarlig leverskada som orsakar hjärtproblem, såsom belastning på hjärtat på grund av högt flöde, vilket leder till ihållande andfåddhet trots lämplig behandling,
- eller en form av sjukdomen som orsakar svår blödning (med blödningar i näsa eller matspjälkningskanalen), vilket kräver blodtransfusioner eller intravenöst järn.

De vanligaste symtomen på sjukdomen är spontana och ofta förekommande näsblödningar samt röda fläckar på huden. Blödning kan också förekomma i magen, tarmarna, hjärnan, levern och lungorna, och leder ofta till anemi (lågt antal röda blodkroppar).

Orblid innehåller den aktiva substansen bevacizumab och skulle finnas som infusion (dropp) i en ven. Bevacizumab har varit godkänt i EU sedan 2005 i kombination med andra läkemedel för behandling av olika cancerformer. Denna ansökan gällde således användningen av en välkänd aktiv substans vid en ny indikation.

Orblid klassificerades som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 16 december 2014 avsett att användas vid ärftlig hemorragisk telangiectasi. Mer information om klassificeringen som sär-läkemedel finns på EMA:s webbplats:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-14-1390.



Hur verkar Orblid?

Patienter med ärftlig hemorragisk telangiectasi har en genetisk mutation (defekt) som leder till höga nivåer av VEGF (vaskulär endotelial tillväxtfaktor), ett protein som medverkar till blodkärlens tillväxt. Detta leder till onormal blodkärlstillväxt, vilket resulterar i skapandet av direkta förbindelser mellan artärer och vener, vilket ökar risken för blödning.

Den aktiva substansen i Orblid, bevacizumab, är en monoklonal antikropp (ett slags protein) som har utformats för att känna igen och binda till VEGF och blockera dess verkan. Genom att blockera VEGF förväntas bevacizumab förhindra tillväxten av onormala blodkärl och på så sätt lindra symtomen på blödning vid ärftlig hemorragisk telangiectasi.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget presenterade resultaten från två huvudstudier. Den första omfattade 25 vuxna patienter med ärftlig hemorragisk telangiectasi med allvarlig leverskada och hjärtproblem. Samtliga patienter fick Orblid. Huvudeffektmåttet var en minskning av hjärtindexet efter tre månader, vilket kan spegla en förbättring av hjärtfunktionen.

I den andra huvudstudien ingick 24 vuxna patienter med en form av sjukdomen som orsakar svår blödning, vilket kräver transfusioner eller intravenöst järn. De fick sex infusioner av antingen Orblid eller placebo (overksam behandling) varannan vecka. Huvudeffektmåttet var andelen patienter med en minskning på minst 50 procent av antalet transfusioner av röda blodkroppar under 3–6 månader efter behandlingsstart, jämfört med 3 månader före behandlingsstart.

Företaget lämnade också in publicerade litteraturdata om användningen av bevacizumab hos patienter med ärftlig hemorragisk telangiectasi.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) hade utvärderat den ursprungliga dokumentationen från företaget och sammanställt en frågelista. Vid tidpunkten för återkallandet hade företaget ännu inte besvarat frågorna.

Vad rekommenderade EMA vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna hyste EMA vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Orblid inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av ärftlig hemorragisk telangiectasi.

I huvudstudien som utvärderade Orblid hos patienter med allvarlig leverskada, liksom i de stödjande studierna, jämfördes inte läkemedlet med någon annan behandling eller placebo och flera vetenskapliga begränsningar kunde konstateras, såsom användningen av andra terapeutiska åtgärder före eller under studien, vilket gjorde det svårt att dra några slutsatser om läkemedlets effekt. Dessutom anses huvudeffektmåttet, hjärtindex, inte vara ett oberoende, tillförlitligt mått på behandlingseffekten, eftersom det kan påverkas av andra faktorer, däribland patientens övergripande hälsotillstånd och naturliga sjukdomsvariationer.

Studien på patienter med en svår hemorragisk form av sjukdomen visade inte någon effekt av Orblid på antalet blodtransfusioner som krävdes. Resultaten från stödjande studier gav inte heller några belegg för läkemedlets effekt.

När det gäller säkerheten har det konstaterats att den aktiva substansen bevacizumab är förknippad med allvarliga biverkningar vid behandling av cancer och de inlämnade uppgifterna för Orblid var för begränsade för att man skulle kunna dra slutsatser om läkemedlets säkerhet hos patienter med hereditär hemorragisk telangiectasi, särskilt på lång sikt.

Slutligen rådde det osäkerhet kring de inlämnade uppgifterna om den lämpligaste dosen och doseringsintervallet.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför EMA att företaget inte hade lämnat in tillräckliga uppgifter som stöd för sin ansökan för Orblid.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I [skrivelsen](#) till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att det drog tillbaka sin ansökan på grund av att myndigheten identifierat större kliniska problem som endast kunde hanteras genom att genomföra en ny klinisk studie.

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget informerade EMA om att det inte pågår några kliniska prövningar eller compassionate use-program med Orblid.