



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25. července 2025
EMA/243003/2025
EMA/H/C/004354

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Aplidin (plitidepsin)

Společnost PharmaMar stáhla svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Aplidin určeného k léčbě mnohočetného myelomu.

Společnost svou žádost stáhla dne 23. července 2025 v průběhu přezkoumání.

Co je přípravek Aplidin a k čemu měl být používán?

Přípravek Aplidin byl vyvinut jako léčivý přípravek k léčbě dospělých s mnohočetným myelomem (nádorovým onemocněním kostní dřeně), kteří již podstoupili alespoň tři předchozí protinádorové léčby (včetně léčby bortezomibem a dále buď lenalidomidem, nebo thalidomidem). Přípravek Aplidin se měl používat v kombinaci s dexamethasonem (jiným léčivem používaným k léčbě mnohočetného myelomu).

Přípravek Aplidin obsahuje léčivou látku plitidepsin. Měl být k dispozici ve formě prášku a rozpouštědla pro přípravu infuzního roztoku (kapačky) do žíly.

Přípravek Aplidin byl dne 16. listopadu 2004 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Přípravek měl být určen k léčbě mnohočetného myelomu. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách agentury](#).

Jak přípravek Aplidin působí?

Léčivá látka přípravku Aplidin, plitidepsin, blokuje bílkovinu zvanou eEF1A2. eEF1A2 se podílí na rozpadu nesprávně složených bílkovin, které jsou toxické pro myelomové buňky. Blokováním eEF1A2 způsobuje plitidepsin hromadění těchto bílkovin v buňkách mnohočetného myelomu, což je poškozuje a nakonec vede k jejich odumření.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky jedné hlavní studie, do které bylo zařazeno 255 pacientů s mnohočetným myelomem, kteří byli léčeni alespoň 3 dalšími protinádorovými léčivými přípravky. V této studii byl přípravek Aplidin v kombinaci s dexamethasonem porovnáván s dexamethasonem

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



podávaným samostatně a hlavním měřítkem účinnosti bylo přežití bez progresu onemocnění (jak dlouho pacienti žili, aniž by došlo ke zhoršení jejich onemocnění).

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Posuzování bylo ukončeno a Evropská agentura pro léčivé přípravky doporučila registraci zamítnout. Společnost požádala o přezkoumání doporučení agentury, žádost však stáhla ještě před ukončením přezkoumání.

Jaké bylo doporučení agentury v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na otázky agentury agentura v době stažení žádosti doporučila zamítnout registraci přípravku Aplidin k léčbě mnohočetného myelomu.

Agentura byla znepokojena tím, že údaje z hlavní studie prokázaly pouze mírné prodloužení doby (přibližně o jeden měsíc), po kterou pacienti užívající přípravek Aplidin žili, aniž by došlo ke zhoršení jejich onemocnění, ve srovnání s pacienty léčenými samotným dexamethasonem. Navíc nebylo dostatečně prokázáno zlepšení celkového přežití (celkové doby, po kterou pacienti žili). Pokud jde o bezpečnost, v souvislosti s kombinací přípravku Aplidin a dexamethasonu byly závažné nežádoucí účinky hlášeny častěji než u dexamethasonu podávaného samostatně.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že její rozhodnutí bylo založeno na změně její marketingové strategie.

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií?

Společnost informovala agenturu, že zamítnutí registrace nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou zařazeni do klinických studií s přípravkem Aplidin. Pokud jste zařazeni do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.