



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aplidinia (plitidepsiini) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

PharmaMar peruutti multippelin myelooman hoitoon tarkoitettua Aplidin-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa.

Yritys peruutti hakemuksen uudelleenarvioinnin aikana 23. heinäkuuta 2025.

Mitä Aplidin on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Aplidin kehitettiin lääkkeeksi, jolla hoidetaan multippelia myeloomaa (luuytimen syöpä) sairastavia aikuisia, joille on aiemmin annettu vähintään kolme syöpähoitoa (mukaan lukien bortetsomibi ja joko lenalidomidi tai talidomidi). Aplidinia oli määrä käyttää yhdessä deksametasonin (toisen multippelin myelooman hoitoon tarkoitetun lääkkeen) kanssa.

Aplidinin vaikuttava aine on plitidepsiini. Sitä oli määrä olla saatavana kuiva-aineena ja liuoksena, joista valmistetaan liuos infuusiota (laskimonsisäistä tiputusta) varten.

Aplidin määriteltiin multippelin myelooman hoitoon tarkoitetuksi harvinaislääkkeeksi (harvinaisen sairauden hoitoon tarkoitettu lääke) 16. marraskuuta 2004. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [viraston verkkosivuilla](#).

Miten Aplidin vaikuttaa?

Aplidinin vaikuttava aine, plitidepsiini, estää eEF1A2-nimisen proteiinin toimintaa. Se osallistuu myeloomasoluille myrkyllisten, väärin laskostuneiden proteiinien hajottamiseen. Estämällä eEF1A2-proteiinin toimintaa plitidepsiini aiheuttaa näiden proteiinien kertymisen multippelissa myeloomassa soluihin, jolloin ne vaurioituvat ja lopulta kuolevat.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tulokset yhdestä päätutkimuksesta, johon osallistui 255 multippelia myeloomaa sairastavaa potilasta, joita oli hoidettu vähintään kolmella muulla syöpälääkkeellä. Tässä tutkimuksessa Aplidinin ja deksametasonin yhdistelmää verrattiin pelkkään deksametasoniin. Tehon pääasiallisena mittana oli etenemättömyysaika (se, miten pitkään potilaat elivät ilman sairauden pahenemista).

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



Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Arviointi oli saatu päätökseen, ja Euroopan lääkevirasto oli suositellut myyntiluvan epäämistä. Lääkeyhtiö oli pyytänyt viraston suosituksen uudelleenarviointia, mutta se peruutti hakemuksen ennen uudelleenarvioinnin päättymistä.

Mikä oli viraston suositus tuolloin?

Saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella virasto oli hakemuksen peruuttamisen ajankohtana suositellut, että Aplidinin myyntilupahakemus multipppelin myelooman hoitoon evätään.

Virasto oli huolissaan siitä, että päätutkimuksen tiedot osoittivat Aplidinia saaneiden potilaiden etenemättömyysajan pidentyneen vain vähän, noin yhden kuukauden, verrattuna niihin potilaisiin, joita hoidettiin pelkästään deksametasonilla. Lisäksi kokonaiselonjäämisen parantumista (miten pitkään potilaat elivät kaikkineen) ei ollut osoitettu riittävästi. Turvallisuuden osalta Aplidinin ja deksametasonin yhdistelmästä ilmoitettiin enemmän vakavia haittavaikutuksia kuin pelkästä deksametasonista.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että päätös perustuu sen markkinointistrategian muutokseen.

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että peruuttamisesta ei ole seurauksia Aplidin-valmisteen kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille. Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, keskustele asiasta kliinisen tutkimuksen lääkärin kanssa.