



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Az Aplidin-re (plitidepszin) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

A PharmaMar visszavonta az Aplidin mielóma multiplex kezelésére vonatkozó forgalombahozatali engedélye iránti kérelmét.

A vállalat 2025. július 23-án vonta vissza a kérelmet egy felülvizsgálat során.

Milyen típusú gyógyszer az Aplidin és milyen alkalmazásra szánták?

Az Aplidin-t olyan mielóma multiplexben (csontvelődaganat) szenvedő felnőttek kezelésére fejlesztették ki, akik legalább három korábbi daganatellenes kezelésben részesültek (beleértve a bortezomibot és a lenalidomidot vagy a talidomidot). Az Aplidin alkalmazását dexametazonnal (egy másik mielóma multiplex kezelésére alkalmazott gyógyszer) kombinálva tervezték.

Az Aplidin hatóanyaga a plitidepszin. Oldatos infúzió készítésére szolgáló por és oldószer formájában kívánták forgalomba hozni.

Az Aplidin 2004. november 16-án a mielóma multiplex kezelése tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszer” minősítést kapott. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ [itt](#) található.

Hogyan fejti ki hatását az Aplidin?

Az Aplidin hatóanyaga, a plitidepszin az eEF1A2 nevű fehérje működését gátolja. Az eEF1A2 a mielómasejtek számára toxikus hatású, rosszul összehajtogatott fehérjék lebontásában vesz részt. Az eEF1A2 gátlása következtében a plitidepszin hatására ezen fehérjék felhalmozódnak a mielóma multiplexes sejtekben, károsítják és végül elpusztítják azokat.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit mutatta be, amelyben 255 olyan, mielóma multiplexben szenvedő beteg vett részt, akiket korábban már legalább három más daganatellenes gyógyszerrel kezeltek. Ebben a vizsgálatban az Aplidin és dexametazon kombinációját önmagában alkalmazott

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



dexametazonnal hasonlították össze, és a hatásosság fő mutatója a progressziómentes túlélés volt (meddig éltek a betegek a betegség súlyosbodása nélkül).

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

Az értékelés befejeződött, és az Európai Gyógyszerügynökség a forgalombahozatali engedély elutasítását javasolta. A vállalat az Ügynökség ajánlásának felülvizsgálatát kérte, ez a felülvizsgálat azonban még nem fejeződött be, amikor a vállalat visszavonta a kérelmét.

Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által az Ügynökség kérdéseire adott válaszok áttekintése alapján az Ügynökség a mielóma multiplex kezelésére szánt Aplidin-re vonatkozó forgalombahozatali engedély kiadásának elutasítását javasolta.

Az Ügynökség aggályát fejezte ki amiatt, hogy a fő vizsgálatból származó adatok az Aplidin-nel kezelt betegeknél a betegség súlyosbodása nélkül eltelt időnek csak mérsékelten, körülbelül egy hónappal történő növekedését mutatták ki az önmagában alkalmazott dexametazonnal kezelt betegekhez képest. Továbbá, az összesített túlélés javulásának (meddig éltek a betegek összességében) bizonyítása nem volt megfelelő. A biztonságosságot tekintve, súlyos mellékhatásokat gyakrabban jelentettek az Aplidin és a dexametazon kombináció esetén, mint a dexametazon önmagában történő alkalmazása során.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy döntése a forgalombahozatali stratégia változásán alapult.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy az elutasításnak az Aplidin-nel végzett klinikai vizsgálatokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei. Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.