



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 luglio 2025
EMA/243003/2025
EMA/H/C/004354

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Aplidin (plitidepsina)

PharmaMar ha ritirato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Aplidin per il trattamento del mieloma multiplo.

La ditta ha ritirato la domanda il 23 luglio 2025 nel corso di un riesame.

Che cos'è Aplidin e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?

Aplidin è stato sviluppato come medicinale per il trattamento di adulti con mieloma multiplo (un cancro del midollo osseo) in precedenza trattati con almeno tre terapie antitumorali (tra cui bortezomib e lenalidomide o talidomide). Aplidin avrebbe dovuto essere usato in associazione con desametasone (un altro medicinale usato per il trattamento del mieloma multiplo).

Aplidin contiene il principio attivo plitidepsina. Avrebbe dovuto essere disponibile sotto forma di polvere e solvente per la preparazione di una soluzione per infusione (goccia a goccia) in vena.

Aplidin è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 16 novembre 2004 per il trattamento del mieloma multiplo. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web dell'Agenzia](#).

Come agisce Aplidin?

Il principio attivo di Aplidin, plitidepsina, blocca una proteina chiamata eEF1A2. La proteina eEF1A2 è coinvolta nella scomposizione delle proteine mal ripiegate, che sono tossiche per le cellule del mieloma. Bloccando l'eEF1A2, plitidepsina provoca l'accumulo di queste proteine nelle cellule del mieloma multiplo, danneggiandole e causandone infine la morte.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i risultati di uno studio principale su 255 pazienti con mieloma multiplo che erano stati trattati con almeno altri tre medicinali antitumorali. In questo studio, Aplidin in associazione a desametasone è stato confrontato con desametasone da solo; la principale misura dell'efficacia è

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



stata la sopravvivenza libera da progressione (la durata della sopravvivenza dei pazienti senza peggioramento della malattia).

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La valutazione era stata portata a termine e l'Agencia europea per i medicinali aveva raccomandato il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio. La ditta aveva richiesto un riesame della raccomandazione dell'Agencia, ma aveva ritirato la domanda prima che tale riesame fosse terminato.

Qual era la raccomandazione dell'Agencia a quel punto?

In base all'esame dei dati e delle risposte fornite dalla ditta alle domande formulate dall'Agencia, al momento del ritiro della domanda, l'Agencia aveva raccomandato il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Aplidin per il trattamento del mieloma multiplo.

L'Agencia aveva osservato che, in base ai dati dello studio principale, il trattamento con Aplidin comportava solo un modesto aumento (circa un mese) della sopravvivenza senza progressione della malattia rispetto al trattamento con il solo desametasone. Inoltre, non vi erano prove sufficienti tali da dimostrare un miglioramento della sopravvivenza globale (il tempo totale di sopravvivenza dei pazienti). Per quanto riguarda la sicurezza, l'associazione di Aplidin e desametasone era risultata associata a una maggiore frequenza di effetti indesiderati gravi rispetto al trattamento con desametasone da solo.

Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella [lettera](#) con cui notifica all'Agencia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato che la decisione era basata su un cambiamento nella sua strategia di commercializzazione.

Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato l'Agencia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici con Aplidin. Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.