



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 lipca 2025 r.
EMA/243003/2025
EMA/H/C/004354

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Aplidin (plitydepsyna)

Firma PharmaMar wycofała wniosek o dopuszczenie do obrotu produktu Aplidin, który miał być stosowany w leczeniu szpiczaka mnogiego.

Firma wycofała wniosek 23 lipca 2025 r. w trakcie ponownej oceny.

Co to jest produkt Aplidin i w jakim celu miał być stosowany?

Aplidin opracowano jako lek stosowany w leczeniu osób dorosłych ze szpiczakiem mnogim (rodzajem raka szpiku kostnego), którzy otrzymali wcześniej co najmniej trzy terapie przeciwnowotworowe (w tym bortezomib oraz albo lenalidomid, albo talidomid). Aplidin miał być stosowany w skojarzeniu z deksametazonem (innym lekiem stosowanym w leczeniu szpiczaka mnogiego).

Substancją czynną zawartą w leku Aplidin jest plitydepsyna. Lek miał być dostępny w postaci proszku i rozpuszczalnika do sporządzania roztworu do infuzji dożyłnej (kroplówki).

W dniu 16 listopada 2004 r. lek Aplidin uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu szpiczaka mnogiego. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć na [stronie Agencji](#).

Jak działa produkt Aplidin?

Substancja czynna leku Aplidin, plitydepsyna, blokuje białko o nazwie eEF1A2. eEF1A2 uczestniczy w rozkładzie niewłaściwie zwiniętych białek, które są toksyczne dla komórek szpiczaka. Blokując eEF1A2, plitydepsyna powoduje gromadzenie tych białek w komórkach szpiczaka mnogiego, co prowadzi do ich uszkodzenia, a ostatecznie obumierania.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki jednego badania głównego przeprowadzonego z udziałem 255 pacjentów ze szpiczakiem mnogim, którzy byli wcześniej leczeni co najmniej 3 innymi lekami przeciwnowotworowymi. W badaniu tym lek Aplidin z deksametazonem porównywano z

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



deksametazonem w monoterapii, a głównym kryterium oceny skuteczności było przeżycie wolne od progresji (długość życia pacjentów bez nasilenia choroby).

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Ocena wniosku została zakończona, a Europejska Agencja Leków zaleciła odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu. Firma wystąpiła o ponowną ocenę zalecenia Agencji, ale wycofała wniosek przed jej zakończeniem.

Jakie zalecenia wydała wówczas Agencja?

W momencie wycofania wniosku Agencja, na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na pytania Agencji, zaleciła odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu leku Aplidin w leczeniu szpiczaka mnogiego.

Agencja obawiała się, że dane z badania głównego wykazały jedynie niewielkie wydłużenie (o około miesiąc) czasu przeżycia bez nasilenia choroby u pacjentów stosujących Aplidin w porównaniu z osobami leczonymi samym deksametazonem. Ponadto nie wykazano w sposób wystarczający poprawy w zakresie przeżycia całkowitego (ogólnej długości życia pacjentów). Odnośnie do bezpieczeństwa, w przypadku skojarzenia leku Aplidin z deksametazonem ciężkie działania niepożądane zgłaszano częściej niż w przypadku samego deksametazonu.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim [piśmie](#) powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że jej decyzja została podjęta z uwagi na zmianę strategii marketingowej.

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów obecnie biorących udział w badaniach klinicznych z użyciem leku Aplidin. W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie kliniczne.