



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 de julho de 2025  
EMA/243003/2025  
EMA/H/C/004354

## Retirada do pedido de autorização de introdução no mercado de Aplidin (plitidepsina)

A PharmaMar retirou o seu pedido de autorização de introdução no mercado do Aplidin para o tratamento do mieloma múltiplo.

A empresa retirou o pedido em 23 de julho de 2025, no âmbito de um reexame.

### O que é o Aplidin e qual a utilização prevista?

O Aplidin foi desenvolvido como um medicamento para o tratamento de adultos com mieloma múltiplo (um cancro da medula óssea) que receberam pelo menos três tratamentos anteriores contra o cancro (incluindo bortezomib e lenalidomida ou talidomida). O Aplidin iria ser utilizado em associação com dexametasona (outro medicamento utilizado no tratamento do mieloma múltiplo).

O Aplidin contém a substância ativa plitidepsina. O medicamento iria ser disponibilizado na forma de um pó e de um solvente para a preparação de uma solução para perfusão (administração gota a gota) numa veia.

O Aplidin foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 16 de novembro de 2004 para o tratamento do mieloma múltiplo. Pode obter informações adicionais sobre a designação de medicamento órfão no [sítio Web da Agência](#).

### Como funciona o Aplidin?

A substância ativa do Aplidin, a plitidepsina, bloqueia uma proteína denominada eEF1A2. A eEF1A2 está envolvida na degradação das proteínas mal dobradas, que são tóxicas para as células do mieloma. Ao bloquear a eEF1A2, a plitidepsina provoca a acumulação destas proteínas nas células do mieloma múltiplo, danificando-as e, em última instância, conduzindo à sua morte.

### Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?

A empresa apresentou os resultados de um estudo principal que incluiu 255 doentes com mieloma múltiplo que tinham sido tratados com, pelo menos, 3 outros medicamentos contra o cancro. Neste estudo, a associação de Aplidin e dexametasona foi comparada com a dexametasona isoladamente e o

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) Telephone +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



principal parâmetro de eficácia foi a sobrevivência livre de progressão (durante quanto tempo os doentes viveram sem agravamento da doença).

### **Qual o estado de adiantamento do processo de avaliação do pedido quando este foi retirado?**

A avaliação estava concluída e a Agência Europeia de Medicamentos tinha recomendado a recusa da autorização de introdução no mercado. A empresa tinha solicitado um reexame da recomendação da Agência, mas retirou o pedido antes de este reexame estar concluído.

### **Qual era a recomendação da Agência no momento da retirada?**

Com base na análise dos dados e da resposta da empresa às perguntas da Agência, no momento da retirada, a Agência tinha recomendado a recusa da concessão de uma autorização de introdução no mercado para o Aplidin para o tratamento do mieloma múltiplo.

A Agência tinha reservas pelo facto de os dados do estudo principal demonstrarem apenas um aumento modesto de cerca de um mês no tempo em que os doentes que receberam Aplidin viveram sem agravamento da doença, em comparação com os doentes tratados apenas com dexametasona. Além disso, a melhoria da sobrevivência global (durante quanto tempo os doentes viveram) não foi suficientemente demonstrada. Relativamente à segurança, foram notificados efeitos secundários graves mais frequentemente com a associação de Aplidin e dexametasona do que com a dexametasona isoladamente.

### **Quais as razões invocadas pela empresa para retirar o pedido?**

Na [carta](#) a notificar a Agência da retirada do pedido de autorização, a empresa declarou que a sua decisão se baseava numa alteração da sua estratégia de comercialização.

### **Esta retirada afeta os doentes incluídos em ensaios clínicos?**

A empresa informou a Agência de que não existem consequências para os doentes incluídos em ensaios clínicos com o Aplidin. Se estiver incluído num ensaio clínico e necessitar de informação adicional sobre o tratamento, fale com o médico do ensaio clínico.