



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/615917/2022
EMA/H/C/005681

Pepaxti (melfalaanflufenamiid)

Ülevaade ravimist Pepaxti ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Pepaxti ja milleks seda kasutatakse?

Pepaxti on ravim, mida kasutatakse täiskasvanutel hulgimüeloomi (teatud luuüdivähi) raviks, kui vähk on refraktoorne (ei ole reageerinud varasemale ravile).

Seda kasutatakse koos deksametasooniga (põletikuvastane ravim) täiskasvanutel, kes on varem saanud vähemalt kolm ravikuuri, sh immunomodulaatori, proteasoomi inhibiitori ja CD38-vastase antikehaga, ning kelle haigus on pärast viimast ravi progresseerunud.

Patsientidel, kellele on siiratud autoloogseid tüvirakke (protseduur, mille käigus patsiendi luuüdi puhastatakse rakkudest ja asendatakse patsiendi enda tüvirakkudega), võib Pepaxtit kasutada, kui siirdamisest vähi taastekkeni on möödunud vähemalt 3 aastat.

Hulgimüeloom esineb harva ja Pepaxti nimetati 19. märtsil 2015 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-15-1463>

Pepaxti sisaldab toimeainena melfalaanflufenamiidi.

Kuidas Pepaxtit kasutatakse?

Pepaxti on retseptiravim. Ravi Pepaxtiga peab alustama ja jälgima hulgimüeloomi ravis kogenud arst.

Pepaxtit manustatakse 30 minutit kestva veeniinfusioonina 28-päevase tsükli 1. päeval ja annus sõltub patsiendi kehamassist. Kui patsiendil tekivad teatud kõrvalnähud, võib arst annust vähendada või selle manustamise lõpetada. Ravi jätkatakse seni, kui see ei ole enam patsiendile kasulik või kui kõrvalnähud muutuvad vastuvõetamatuks.

Koos Pepaxtiga antava deksametasooni soovitatav annus on 40 mg suu kaudu iga 28-päevase ravitsükli 1., 8., 15. ja 22. päeval. Deksametasooni soovitatav annus 75-aastastele ja vanematele patsientidele on 20 mg.

Lisateavet Pepaxti kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrit.



Kuidas Pepaxti toimib?

Ravimi toimeaine melfalaanflufenamiid on alküüliv aine (teatud vähiravim). See häirib rakkude normaalseks toimimiseks ja paljunemiseks vajaliku DNA talitlust ja parandamist. Kuna vähirakud kasvavad ja paljunevad rohkem kui normaalsed rakud, on need ravimi toimele vastuvõtlikumad. Vähirakkude DNA-d kahjustades aitab melfalaanflufenamiid neid hävitada ning ennetada vähi kasvu ja levikut.

Milles seisneb uuringute põhjal Pepaxti kasulikkus?

Pepaxti ja deksametasooni kombinatsioonravi oli efektiivne vähi hävitamisel põhiuuringus, milles osales 157 hulgimüeloomiga patsienti, kellel haigus ei reageerinud enam ravile ja oli taastekkinud pärast kolme varasemat ravikuuri. Kliiniliselt olulised tulemused ilmnesisid 52 patsiendil, kellele ei olnud siirdamist tehtud või kellele oli tehtud siirdamine ja siirdamisest haiguse progresseerumiseni oli möödunud vähemalt 3 aastat. Pepaxti ja deksametasooniga tekkis ligikaudu 29%-l patsientidest ravivastus (vähisümptomite vähenemine), mis püsis ligikaudu 7,6 kuud.

Lisauuringus, milles võrreldi Pepaxtit ja deksametasooni pomalidomiidi (samuti vähiravim) ja deksametasooniga, täheldati kasulikku toimet ka patsientidel, kellele ei olnud varem siirdamist tehtud või kellele oli tehtud siirdamine ja siirdamisest haiguse progresseerumiseni oli möödunud vähemalt 3 aastat. Pepaxtit ja deksametasooni saanud patsientide progresseerumiseta elumus oli keskmiselt 9,3 kuud ning pomalidomiidi ja deksametasooni saanud patsientidel 4,6 kuud. Patsientide üldine elumus oli 23,6 kuud Pepaxti ja deksametasooni ning 19,8 kuud pomalidomiidi ja deksametasooni kasutamisel.

Mis riskid Pepaxtiga kaasnevad?

Pepaxti kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on trombotsütopeenia (trombotsüütide ehk vereliistakute vähesus), neutropeenia (neutrofiilide ehk teatud valgeliblede vähesus), aneemia (erütrotsüütide ehk punaliblede vähesus), iiveldus, kõhulahtisus ja palavik. Kõige sagedamad rasked kõrvalnähud on kopsupõletik, trombotsütopeenia ja hingamisteede infektsioon.

Pepaxtit ei tohi kasutada imetamise ajal.

Pepaxti kohta teatatud kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Pepaxti ELis heaks kiideti?

Euroopa Raviamet otsustas, et Pepaxti kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita. Amet märkis, et hulgimüeloomiga patsientidel, kelle seisund ei parane olemasolevate ravimeetoditega, esineb täitmata ravivajadus. Vaatamata uuringutes täheldatud teatud piirangutele peeti tulemusi kliiniliselt oluliseks, v.a nende patsientide alarühmas, kellele oli siiratud autoloogseid tüvirakke ja kelle haigus oli progresseerunud 3 aasta jooksul pärast siirdamist.

Kuigi Pepaxti-raviga kaasnesid ohutuse seisukohast ka rasked kõrvalnähud, peeti neid vastuvõetavaks ja hallatavaks.

Mis meetmed võetakse, et tagada Pepaxti ohutu ja efektiivne kasutamine?

Pepaxti ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, tehakse Pepaxti kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Pepaxti kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Pepaxti kohta

Lisateave Pepaxti kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti