



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pepaxti (melfalaaniflufenamidi)

Yleistiedot Pepaxti-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Pepaxti on ja mihin sitä käytetään?

Pepaxti on lääke, jolla hoidetaan aikuisten multippelia myeloomaa (luuydinsyöpää), kun aiemmat hoidot eivät ole tehonneet (syöpä on refraktorinen eli hoitoresistentti).

Sitä käytetään yhdessä deksametasonin (tulehduslääke) kanssa aikuisilla, jotka ovat saaneet aiemmin vähintään kolmea hoitoa, mukaan lukien immuunivastetta muuntavaa lääkettä, proteasomin estäjää ja anti-CD38-vasta-ainetta, ja joiden sairaus on pahentunut viimeisimmän hoidon jälkeen.

Potilaille, joille on tehty autologinen kantasolusiirto (toimenpide, jossa potilaan luuytimen solut hävitetään ja niiden tilalle palautetaan potilaan omia kantasoluja), Pepaxtia voidaan antaa, jos kantasolusiirrosta on syövän uusiutuessa kulunut vähintään kolme vuotta.

Multippeli myelooma on harvinainen sairaus, ja Pepaxti nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 19. maaliskuuta 2015. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-15-1463>

Pepaxtin vaikuttava aine on melfalaaniflufenamidi.

Miten Pepaxti-valmistetta käytetään?

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Pepaxti-hoidon saa aloittaa vain multippelin myelooman hoitoon perehtynyt lääkäri, jonka on myös valvottava hoitoa.

Valmistetta annetaan 30 minuuttia kestäväenä infusiona (tiputuksena) laskimoon 28 päivää kestäväen hoitosyklin päivänä 1. Annos määräytyy kehon painon mukaan. Lääkäri voi pienentää annosta tai lopettaa hoidon, jos potilaalla esiintyy tiettyjä haittavaikutuksia. Hoitoa jatketaan, kunnes potilas ei enää hyödy siitä tai hänelle kehittyy sietämättömiä haittavaikutuksia.

Suosittelun deksametasoniannos yhdessä Pepaxtin kanssa annettuna on 40 mg suun kautta 28 päivää kestäväen hoitosyklin päivinä 1, 8, 15 ja 22. Vähintään 75-vuotiaiden potilaiden suositeltu deksametasoniannos on 20 mg.

Lisätietoa Pepaxtin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

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



Miten Pepaxti vaikuttaa?

Valmisteen vaikuttava aine melfalaaniflufenamidi syöpälääketyyppi, jota kutsutaan alkyloivaksi aineeksi. Se häiritsee DNA:n normaalia toimintaa ja korjautumista ja vaikuttaa solujen geneettisiin ohjeisiin, joita ne tarvitsevat toimiakseen ja lisääntyäkseen. Koska syöpäsolut kasvavat ja lisääntyvät yleensä normaaleja soluja enemmän, ne ovat alttiimpia lääkkeen vaikutukselle. Vahingoittamalla syöpäsolujen DNA:ta melfalaaniflufenamidi voi auttaa tuhoamaan ne ja estämään syöpäsolujen kasvun ja leviämisen.

Mitä hyötyä Pepaxtista on havaittu tutkimuksissa?

Yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 157 multippelia myeloomaa sairastavaa potilasta, joiden sairaus ei enää vastannut hoitoon ja joiden sairaus oli uusiutunut kolmen aikaisemman hoidon jälkeen, Pepaxtin ja deksametasonin yhdistelmän osoitettiin olevan tehokas syövän hävittämisessä. Niillä 52 potilaalla, joille ei joko ollut tehty kantasolusiirtoa tai joille oli tehty kantasolusiirto mutta joiden sairaus oli edennyt yli kolme vuotta sen jälkeen, Pepaxtista havaittiin kliinisesti merkittäviä tuloksia. Näistä Pepaxtia ja deksametasonia saaneista potilaista noin 29 prosentille syntyi hoitovaste (mikä tarkoittaa syövän merkkien vähenemistä), joka kesti noin 7,6 kuukautta.

Lisätutkimuksessa, jossa Pepaxtia ja deksametasonia verrattiin pomalidomidin (toinen syöpälääke) ja deksametasonin yhdistelmään, suotuisa vaikutus havaittiin myös potilailla, joille ei ollut tehty aiempaa kantasolusiirtoa tai joille oli tehty kantasiirto mutta joiden sairaus oli edennyt yli kolme vuotta sen jälkeen: Pepaxtia ja deksametasonia saaneet potilaat elivät keskimäärin 9,3 kuukautta ilman sairauden pahenemista, kun taas pomalidomidia ja deksametasonia saaneilla potilailla tämä aika oli 4,6 kuukautta. Potilaiden elossaoloaika oli hoidon alettua kaiken kaikkiaan 23,6 kuukautta Pepaxtia ja deksametasonia saaneilla potilailla ja 19,8 kuukautta pomalidomidia ja deksametasonia saaneilla potilailla.

Mitä riskejä Pepaxtiin liittyy?

Pepaxtin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat trombosytopenia (verihituleiden niukkuus), neutropenia (neutrofiilien, erään valkosolutyypin, niukkuus), anemia (veren punasolujen niukkuus), pahoinvointi, ripuli ja kuume. Yleisimmät vakavat haittavaikutukset ovat keuhkokuume (keuhkojen infektio), trombosytopenia ja hengitysteiden infektio.

Pepaxtia ei saa käyttää imetyksen aikana.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Pepaxtin haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Pepaxti on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Pepaxtin hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa. Virasto totesi, ettei multippelia myeloomaa sairastavilla potilailla ole hoitovaihtoehtoja, kun muut saatavilla olevat hoidot eivät enää tehoa. Joistakin tutkimusten rajoituksista huolimatta tuloksia pidettiin kliinisesti merkittävinä lukuun ottamatta niiden potilaiden alaryhmää, joille tehtiin autologinen kantasolusiirto ja joiden sairaus eteni kolmen vuoden kuluessa siirrosta.

Pepaxtin turvallisuuden osalta katsottiin, että vaikka potilailla havaittiin haittavaikutuksia, myös vakavia, niitä pidettiin hyväksyttävänä ja hallittavissa olevina.

Miten voidaan varmistaa Pepaxtin turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Pepaxtin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Pepaxtin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Pepaxtista ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muuta tietoa Pepaxti-valmisteesta

Lisää tietoa Pepaxtista on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti