



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pepaxti (melfalan flufenamidă)

Prezentare generală a Pepaxti și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Pepaxti și pentru ce se utilizează?

Pepaxti este un medicament care se utilizează pentru tratarea adulților cu mielom multiplu (un tip de cancer al măduvei osoase) atunci când cancerul nu a răspuns la tratamente anterioare (refractor).

Se utilizează în asociere cu dexametazonă (un medicament antiinflamator) la adulți care au făcut înainte cel puțin trei tratamente, care au inclus o substanță imunomodulatoare, un inhibitor de proteazom și un anticorp anti-CD38, și la care boala s-a agravat după ultimul tratament.

La pacienții cu transplant autolog de celule stem (o procedură în care măduva pacientului este goliță de celule, care sunt înlocuite cu celule stem de la același pacient), Pepaxti se poate utiliza dacă intervalul dintre transplant și momentul recidivei cancerului este de cel puțin trei ani.

Mielomul multiplu este rar, iar Pepaxti a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 19 martie 2015. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite aici: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-15-1463>

Pepaxti conține substanța activă melfalan flufenamidă.

Cum se utilizează Pepaxti?

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Tratamentul cu Pepaxti trebuie inițiat și supravegheat de medici cu experiență în tratamentul mielomului multiplu.

Se administrează prin perfuzie (picurare în venă) cu durată de 30 de minute în ziua 1 a unui ciclu de 28 de zile, iar doza depinde de greutatea corporală. Medicul poate să reducă doza sau să oprească administrarea dacă pacientul are anumite reacții adverse. Tratamentul se continuă până când pacientul nu mai are beneficii în urma lui sau până când reacțiile adverse devin inacceptabile.

Doza recomandată de dexametazonă în asociere cu Pepaxti este de 40 mg pe cale orală, în zilele 1, 8, 15 și 22 ale fiecărui ciclu de tratament de 28 de zile. Pentru pacienții cu vârsta de 75 de ani și peste, doza recomandată de dexametazonă este de 20 mg.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Pepaxti, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

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



Cum acționează Pepaxti?

Melfalan flufenamida, substanța activă din acest medicament, este un tip de medicament împotriva cancerului numit agent alchilant. Acesta interferează cu funcționarea normală și repararea ADN-ului, instrucțiunile genetice necesare celulelor pentru a funcționa și a se multiplica. Deoarece au tendința de a crește și a se înmulți mai mult decât celulele normale, celulele canceroase sunt mai vulnerabile la acțiunea medicamentului. Deteriorând ADN-ul celulelor canceroase, melfalan flufenamida poate ajuta la distrugerea lor, împiedicând astfel dezvoltarea și răspândirea cancerului.

Ce beneficii a prezentat Pepaxti pe parcursul studiilor?

Într-un studiu principal care a cuprins 157 de pacienți cu mielom multiplu la care boala nu mai răspunsese la tratament și revenise după trei tratamente anterioare, s-a demonstrat că Pepaxti administrat în asociere cu dexametazonă este eficace în eliminarea cancerului. Au fost demonstrate rezultate relevante clinic pentru cei 52 de pacienți care fie nu aveau un transplant, fie aveau un transplant și la care boala a progresat după mai mult de 3 ani. În cazul acestor pacienți, aproximativ 29 % au avut un răspuns (ceea ce înseamnă o reducere a semnelor de cancer) la tratamentul cu Pepaxti și dexametazonă, care a durat aproximativ 7,6 luni.

Într-un studiu suplimentar, care a comparat Pepaxti și dexametazona cu pomalidomidă (alt medicament împotriva cancerului) și dexametazonă, s-a observat un efect benefic și la pacienții care nu aveau transplant sau care aveau un transplant și la care boala a progresat după mai mult de 3 ani: Pacienții care au primit Pepaxti și dexametazonă au trăit în medie 9,3 luni fără agravarea bolii, față de 4,6 luni în cazul pacienților care au primit pomalidomidă și dexametazonă. De asemenea, pacienții au trăit în total 23,6 luni după tratamentul cu Pepaxti și dexametazonă și 19,8 luni după cel cu pomalidomidă și dexametazonă.

Care sunt riscurile asociate cu Pepaxti?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Pepaxti (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt trombocitopenie (număr mic de trombocite în sânge), neutropenie (număr mic de neutrofile, un tip de globule albe), anemie (număr mic de globule roșii), greață, diaree și febră. Cele mai frecvente reacții adverse grave sunt pneumonie (infecție a plămânilor), trombocitopenie și infecție a tractului respirator (infecție a căilor respiratorii).

Pepaxti este contraindicat în timpul alăptării.

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Pepaxti, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Pepaxti în UE?

Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Pepaxti sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE. Agenția a luat notă de necesitatea medicală nesatisfăcută a pacienților cu mielom multiplu, a căror stare nu se mai îmbunătățește cu tratamentele disponibile. În pofida unor limitări ale studiilor, rezultatele au fost considerate relevante clinic, cu excepția subgrupului de pacienți cu transplant autolog de celule stem și la care boala a progresat în decurs de trei ani de la transplant.

În ceea ce privește siguranța, deși în tratamentul care conține Pepaxti s-au observat reacții adverse, inclusiv reacții grave, acestea au fost considerate acceptabile și gestionabile.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Pepaxti?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Pepaxti, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Pepaxti sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate pentru Pepaxti sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Pepaxti

Informații suplimentare cu privire la Pepaxti sunt disponibile pe site-ul agenției:

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