



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Pepaxti (melfalán-flufenamid)

Prehľad o lieku Pepaxti a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Pepaxti a na čo sa používa?

Pepaxti je liek, ktorý sa používa na liečbu dospelých s mnohopočetným myelómom (rakovinou kostnej drene), ak rakovina neodpovedala na predchádzajúce liečby (refraktérna).

Používa sa v kombinácii s dexametazónom (protizápalovým liekom) u dospelých, ktorí absolvovali aspoň tri predchádzajúce liečby, vrátane imunomodulačného lieku, proteazómového inhibítora a anti-protilátky CD38, a ktorých ochorenie sa od poslednej liečby zhoršilo.

V prípade pacientov, ktorí podstúpili autológnu transplantáciu kmeňových buniek (postup, pri ktorom sa kostná dreň pacienta nahradí vlastnými kmeňovými bunkami pacienta), sa liek Pepaxti môže použiť, ak je čas od transplantácie do návratu rakoviny najmenej tri roky.

Mnohopočetný myelóm je zriedkavá choroba, a preto bol liek Pepaxti 19. marca 2015 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-15-1463>

Liek Pepaxti obsahuje liečivo melfalán-flufenamid.

### Ako sa liek Pepaxti používa?

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis. Liečbu liekom Pepaxti musia začať a sledovať lekári, ktorí majú skúsenosti s liečbou mnohopočetného myelómu.

Liek sa podáva formou infúzie (na kvapkanie) do žily v trvaní 30 minút v 1. deň 28-dňového cyklu a dávka závisí od telesnej hmotnosti. Ak sa u pacienta vyskytnú určité vedľajšie účinky, lekár môže dávku znížiť alebo zastaviť. Liečba má pokračovať dovtedy, kým je pre pacienta prínosom alebo kým sú vedľajšie účinky prijateľné.

Odporúčaná dávka dexametazónu podávaná v kombinácii s liekom Pepaxti je 40 mg perorálne na 1., 8., 15. a 22. deň každého 28-dňového liečebného cyklu. Odporúčaná dávka dexametazónu u pacientov od veku 75 rokov je 20 mg.

Viac informácií o používaní lieku Pepaxti si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.



## **Akým spôsobom liek Pepaxti účinkuje?**

Liečivo v tomto lieku, melfalán-flufenamid, je druh protirakovinového lieku známy ako alkylačné činidlo. Narúša normálnu funkciu a opravu DNA, teda genetických pokynov, ktoré bunky potrebujú, aby mohli fungovať a množiť sa. Keďže rakovinové bunky zvyčajne rastú a množia sa viac než normálne bunky, sú citlivejšie na pôsobenie tohto lieku. Poškodzovaním DNA rakovinových buniek môže melfalán-flufenamid prispieť k ich zabitiu a zabrániť tým rastu a šíreniu rakoviny.

## **Aké prínosy lieku Pepaxti boli preukázané v štúdiách?**

V jednej hlavnej štúdii so 157 pacientmi s mnohopočetným myelómom, ktorých ochorenie prestalo odpovedať a vrátilo sa po troch predchádzajúcich liečbach, sa preukázalo, že liek Pepaxti užívaný spolu s dexametazónom je účinný pri odstránení rakoviny. Klinicky relevantné výsledky sa preukázali u 52 pacientov, ktorí buď nemali transplantáciu, alebo mali transplantáciu a u ktorých sa ochorenie zhoršilo viac ako 3 roky po transplantácii. Spomedzi týchto pacientov 29 % odpovedalo na liek Pepaxti a dexametazón (t. j. príznaky rakoviny sa zmiernili) približne počas 7,6 mesiaca.

V ďalšej štúdii, v ktorej sa porovnával liek Pepaxti plus dexametazón s pomalidomidom (iným liekom proti rakovine) a dexametazónom, sa pozoroval prínos aj u pacientov, ktorí v minulosti nemali, resp. mali transplantáciu a u ktorých došlo k progresii ochorenia viac ako po 3 rokoch. Pacienti, ktorí dostávali liek Pepaxti a dexametazón, žili priemerne 9,3 mesiaca bez zhoršenia ochorenia v porovnaní so 4,6 mesiaca u pacientov, ktorí dostávali pomalidomid a dexametazón. Pacienti celkovo žili 23,6 mesiaca, ak používali liek Pepaxti a dexametazón v porovnaní s 19,8 mesiaca pri používaní pomalidomidu a dexametazónu.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Pepaxti?**

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Pepaxti (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú trombocytopenia (nízky počet krvných doštičiek), neutropénia (nízky počet neutrofilov, typu bielych krviniek), anémia (nízky počet červených krviniek), nauzea, hnačka a horúčka. Najčastejšie závažné vedľajšie účinky sú pneumónia (infekcia pľúc), trombocytopenia a infekcia dýchacích ciest (infekcia dýchacích ciest).

Liek Pepaxti sa nesmie používať počas dojčenia.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov a zoznam všetkých obmedzení lieku Pepaxti sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

## **Prečo bol liek Pepaxti povolený v EÚ?**

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Pepaxti sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ. Agentúra konštatovala, že je potrebná liečba pre pacientov s mnohopočetným myelómom, u ktorých už dostupné druhy liečby nepriinášajú zlepšenie stavu. Napriek určitým obmedzeniam v štúdiách sa výsledky považovali za klinicky relevantné, s výnimkou podskupiny pacientov, ktorí absolvovali autológnu transplantáciu kmeňových buniek a ktorých ochorenie sa zhoršilo do troch rokov po transplantácii.

Pokiaľ ide o bezpečnosť, hoci boli pri liečbe liekom Pepaxti pozorované vedľajšie účinky vrátane závažných vedľajších účinkov, považujú sa za prijateľné a kontrolovateľné.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Pepaxti?**

Na bezpečné a účinné používanie lieku Pepaxti boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Pepaxti sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Pepaxti sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie informácie o lieku Pepaxti**

Ďalšie informácie o lieku Pepaxti sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti).