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

Pepaxti (*melfalan-flufenamid*)

Přehled pro přípravek Pepaxti ve srozumitelném jazyce a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Pepaxti a k čemu se používá?

Pepaxti je léčivý přípravek, který se používá k léčbě dospělých s mnohočetným myelomem (nádorovým onemocněním kostní dřeně) v případě, že nádorové onemocnění nereaguje na předchozí léčbu (je refrakterní).

Používá se v kombinaci s dexamethasonem (protizánětlivým léčivem) u dospělých, kteří již podstoupili nejméně dvě předchozí léčby, včetně léčby jiným protinádorovým léčivem zvaným lenalidomid a jejichž onemocnění se od poslední léčby zhoršilo.

U pacientů, kteří již podstoupili autologní transplantaci kmenových buněk (zákrok, při kterém jsou z kostní dřeně pacienta odstraněny buňky, které jsou poté nahrazeny jeho vlastními kmenovými buňkami), lze přípravek Pepaxti použít v případě, že od transplantace do návratu nádorového onemocnění uplynuly nejméně tři roky.

Přípravek Pepaxti obsahuje léčivou látku melfalan-flufenamid.

Jak se přípravek Pepaxti používá?

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčba přípravkem Pepaxti musí být zahájena a vedena lékařem, který má zkušenosti s léčbou mnohočetného myelomu.

Přípravek Pepaxti se podává formou infuze (kapání) do žíly po dobu 30 minut 1. den 28denního léčebného cyklu. Dávka závisí na tělesné hmotnosti pacienta. Pokud se u pacienta objeví určité nežádoucí účinky, může lékař snížit dávku nebo ukončit léčbu. Léčba by měla pokračovat tak dlouho, dokud je pro pacienta přínosná nebo dokud se u něj neobjeví nepřijatelné nežádoucí účinky.

Dexamethason podávaný v kombinaci s přípravkem Pepaxti se užívá ústy 1., 8., 15. a 22. den každého 28denního léčebného cyklu. Dospělým ve věku 75 let a starším se podává nižší dávka dexamethasonu.

Více informací o používání přípravku Pepaxti naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

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

© European Medicines Agency, 2026. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Jak přípravek Pepaxti působí?

Léčivá látka v přípravku Pepaxti, melfalan-flufenamid, je typ protinádorového léčiva známého jako alkylační látka. Narušuje normální fungování a opravu DNA, což jsou genetické instrukce, které buňky potřebují ke své funkci a množení. Vzhledem k tomu, že nádorové buňky mají tendenci růst a množit se více než normální buňky, jsou citlivější na působení tohoto léčiva. Poškozením DNA nádorových buněk může melfalan-flufenamid napomáhat hubení nádorových buněk a předcházet růstu a šíření nádorového onemocnění.

Jaké přínosy přípravku Pepaxti byly prokázány v průběhu studií?

V jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 157 pacientů s mnohočetným myelomem, jejichž onemocnění přestalo reagovat a po třech předchozích léčbách se vrátilo, bylo prokázáno, že přípravek Pepaxti podávaný v kombinaci s dexamethasonem je při odstraňování nádorového onemocnění účinný. Klinicky významné výsledky byly prokázány u 52 pacientů, kteří buď nepodstoupili transplantaci, nebo kteří ji podstoupili a u nichž došlo ke zhoršení onemocnění po více než třech letech po transplantaci. Z těchto pacientů na léčbu přípravkem Pepaxti a dexamethasonem reagovalo (tj. vykazovalo zmírnění známek nádorového onemocnění) přibližně 29 % pacientů, přičemž tato reakce přetrvala přibližně 7,6 měsíce.

Druhá hlavní studie porovnávala přípravek Pepaxti podávaný v kombinaci s dexamethasonem s pomalidomidem (jiným protinádorovým léčivem) podávaným v kombinaci s dexamethasonem. Do studie bylo zařazeno 293 dospělých s mnohočetným myelomem, kteří již podstoupili nejméně dvě předchozí léčby, včetně léčby lenalidomidem, a jejichž onemocnění přestalo reagovat na lenalidomid a na poslední léčbu a kteří navíc buď nepodstoupili transplantaci kmenových buněk, nebo jejichž nádorové onemocnění se zhoršilo po více než třech letech po transplantaci. Dospělí, kteří byli léčeni přípravkem Pepaxti v kombinaci s dexamethasonem, žili bez zhoršení onemocnění v průměru 9,3 měsíce, zatímco pacienti léčení pomalidomidem v kombinaci s dexamethasonem 4,6 měsíce. Navíc pacienti, kteří byli léčeni přípravkem Pepaxti v kombinaci s dexamethasonem, žili v průměru 23,6 měsíce, zatímco pacienti, kteří byli léčeni pomalidomidem v kombinaci s dexamethasonem, 19,1 měsíce. Rozdíl v celkové době přežití pacientů však nebyl statisticky významný. To znamená, že pozorovaný rozdíl mohl být spíše dílem náhody než důsledkem léčby.

Studie provedené s přípravkem Pepaxti jsou podrobněji popsány v hodnotících zprávách přípravku.

Jaké jsou nežádoucí účinky a omezení přípravku Pepaxti?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Pepaxti je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Pepaxti (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou trombocytopenie (nízký počet krevních destiček), neutropenie (nízké hladiny neutrofilů, což je typ bílých krvinek), anémie (nízký počet červených krvinek), nauzea (pocit na zvracení), průjem a horečka.

Některé nežádoucí účinky mohou být závažné. Nejčastějšími závažnými nežádoucími účinky jsou pneumonie (zápal plic), která může postihnout více než 1 osobu z 10, a trombocytopenie a infekce dýchacích cest, které mohou postihnout až 1 osobu z 10.

Přípravek Pepaxti se nesmí používat během kojení.

Na základě čeho byl přípravek Pepaxti registrován v EU?

Evropská agentura pro léčivé přípravky konstatovala, že existuje nenaplněná léčebná potřeba u dospělých s mnohočetným myelomem, jejichž onemocnění již nereaguje na dostupné možnosti léčby. Navzdory určitým omezením studií byly výsledky považovány za klinicky významné, s výjimkou podskupiny pacientů, kteří podstoupili autologní transplantaci kmenových buněk a u nichž došlo ke zhoršení onemocnění během tří let po transplantaci.

Pokud jde o bezpečnost, při léčbě zahrnující přípravek Pepaxti byly sice zaznamenány nežádoucí účinky, včetně závažných nežádoucích účinků, tyto nežádoucí účinky však byly považovány za přijatelné. Agentura proto rozhodla, že přínosy přípravku Pepaxti převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Pepaxti?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Pepaxti, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Pepaxti průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Pepaxti jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Pepaxti

Přípravku Pepaxti bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 17. srpna 2022.

Další informace o přípravku Pepaxti, včetně příbalové informace a hodnotících zpráv, jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti.

Informace o dostupnosti tohoto přípravku ve vaší zemi vám poskytne příslušný vnitrostátní orgán.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 10-2026.