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

# Pepaxti (*melphalanflufenamid*)

En letlæselig oversigt over Pepaxti, og hvorfor det er godkendt i EU

## Hvad er Pepaxti, og hvad anvendes det til?

Pepaxti er et lægemiddel, der anvendes til behandling af voksne med myelomatose (knoglemarvskræft), når kræften ikke har udvist respons på tidligere behandlinger (er refraktær).

Det anvendes i kombination med dexamethason (et betændelseshæmmende lægemiddel) hos voksne, der har fået mindst to tidligere behandlinger, herunder et andet kræftlægemiddel kaldet lenalidomid, og hvis sygdom er forværret siden den sidste behandling.

Hos patienter, der har fået en autolog stamcelletransplantation (en procedure, hvor cellerne i patientens knoglemarv fjernes og erstattes af stamceller fra patienten selv), kan Pepaxti anvendes, hvis tiden fra transplantationen til det tidspunkt, hvor kræften vender tilbage, er mindst tre år.

Pepaxti indeholder det aktive stof melphalanflufenamid.

## Hvordan anvendes Pepaxti?

Lægemidlet fås kun på recept. Behandling med Pepaxti skal indledes og overvåges af læger med erfaring inden for behandling af myelomatose.

Det gives ved infusion (drop) i en vene over 30 minutter på dag 1 i en 28-dages cyklus. Dosen afhænger af patientens vægt. Lægen kan nedsætte dosen eller standse behandlingen, hvis patienten får visse bivirkninger. Behandlingen bør fortsætte, så længe patienten har gavn af den, eller indtil bivirkningerne ikke længere kan tolereres.

Dexamethason tages gennem munden på dag 1, 8, 15 og 22 i hver 28-dages behandlingscyklus, når det anvendes sammen med Pepaxti. Der gives en lavere dosis dexamethason til voksne i alderen 75 år eller derover.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Pepaxti, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

## Hvordan virker Pepaxti?

Det aktive stof i Pepaxti, melphalanflufenamid, tilhører en gruppe kræftlægemidler, der kaldes alkylerende stoffer. Det forstyrrer den normale funktion og reparation af DNA, den genetiske

**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.

information, cellerne skal bruge for at fungere og dele sig. Eftersom kræftceller typisk vokser og deler sig hurtigere end normale celler, er de mere sårbare over for dette lægemiddels virkning. Ved at beskadige DNA i kræftcellerne kan melphalanflufenamid være med til at dræbe dem og forhindre kræften i at vokse og sprede sig.

## Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Pepaxti?

Ét hovedstudie blandt 157 patienter med myelomatose, hvis sygdom ikke længere udviste respons og var vendt tilbage efter tre tidligere behandlinger, har vist, at Pepaxti taget sammen med dexamethason er effektivt til at få kræften til at forsvinde. Der er påvist klinisk relevante resultater for de 52 patienter, der enten ikke havde fået en transplantation, eller som havde fået en transplantation, og hvis sygdom forværredes mere end 3 år efter transplantationen. Blandt disse patienter udviste 29 % respons (dvs. reducerede tegn på kræft) ved behandling med Pepaxti plus dexamethason, som varede i ca. 7,6 måneder.

I et andet hovedstudie blev Pepaxti plus dexamethason sammenlignet med pomalidomid (et andet kræftlægemiddel) plus dexamethason. Studiet omfattede 293 voksne med myelomatose, som havde fået mindst to tidligere behandlinger, herunder lenalidomid, og hvis sygdom var holdt op med at udvise respons på lenalidomid og den seneste behandling. Desuden havde de enten ikke fået en stamcelletransplantation, eller også var deres kræft forværret mere end 3 år efter, at de havde fået en transplantation. Voksne, der blev behandlet med Pepaxti plus dexamethason, levede i en medianperiode på 9,3 måneder, uden at deres sygdom forværredes, sammenlignet med 4,6 måneder for patienter, der fik pomalidomid plus dexamethason. Desuden levede de, der blev behandlet med Pepaxti plus dexamethason, i en medianperiode på 23,6 måneder, sammenholdt med en medianperiode på 19,1 måneder for dem, der blev behandlet med pomalidomid plus dexamethason. Forskellen i, hvor længe patienterne levede samlet set, var imidlertid ikke statistisk signifikant. Det betyder, at den konstaterede forskel kunne skyldes tilfældigheder snarere end behandlingen.

De gennemførte studier med Pepaxti er beskrevet nærmere i lægemidlets vurderingsrapporter.

## Hvilke bivirkninger og begrænsninger er der ved Pepaxti?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Pepaxti fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Pepaxti (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) omfatter trombocytopeni (lavt antal blodplader), neutropeni (lavt antal neutrofiler, en type hvide blodlegemer), anæmi (lavt antal røde blodlegemer), kvalme, diarré og feber.

Nogle bivirkninger kan være alvorlige. De hyppigste alvorlige bivirkninger omfatter pneumoni (lungeinfektion), som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer, og trombocytopeni (lavt antal blodplader) og luftvejsinfektion, som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer.

Pepaxti må ikke anvendes under amning.

## Hvorfor er Pepaxti godkendt i EU?

Det Europæiske Lægemiddelagentur bemærkede det uopfyldte medicinske behov hos voksne med myelomatose, hvis sygdom ikke længere bedres med de tilgængelige behandlinger. Trods visse usikkerheder i studierne blev resultaterne anset for at være klinisk relevante, med undtagelse af den undergruppe af patienter, som fik en autolog stamcelletransplantation, og hvis sygdom forværredes inden for tre år efter transplantationen.

Hvad sikkerheden angår, blev der observeret bivirkninger, herunder svære bivirkninger, ved behandling med Pepaxti, men disse blev anset for acceptable. Agenturet konkluderede derfor, at fordelene ved Pepaxti opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

## Hvad gøres der for at sikre, at Pepaxti anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at de anvender Pepaxti sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver oplysninger vedrørende anvendelsen af Pepaxti løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Pepaxti vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

## Øvrig information om Pepaxti

Pepaxti fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 17. august 2022.

Der findes mere information om Pepaxti, herunder indlægssedlen og vurderingsrapporterne, på agenturets websted: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti.

Hvis du ønsker at vide, om lægemidlet er tilgængeligt i dit land, kan du kontakte den nationale kompetente myndighed.

Denne oversigt blev sidst ajourført i 10-2026.