



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pepaxti (melfalán-flufenamid)

A Pepaxti-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Pepaxti és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Pepaxti mielóma multiplexben (csontvelődaganat) szenvedő felnőttek kezelésére alkalmazott gyógyszer, amikor a daganat nem reagált a korábbi kezelésekre (refrakter).

Dexametazonnal (gyulladáscsökkentő gyógyszer) kombinációban alkalmazzák olyan felnőtteknél, akik korábban legalább három terápiában részesültek, beleértve immunmoduláló szert, proteaszóma-gátlót és anti-CD38 antitestet, és akiknek a betegsége az utolsó kezelés óta súlyosbodott.

Autológ őssejt-transzplantáción (olyan eljárás, amelynek során a beteg csontvelősejtjeit eltávolítják és magából a betegekből származó őssejtekkel helyettesítik) átesett betegek esetében a Pepaxti akkor alkalmazható, ha a transzplantáció és a daganat kiújulása között eltelt idő legalább három év.

Mivel a mielóma multiplex „ritkának” minősül, ezért a Pepaxti-t 2015. március 19-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-15-1463>

A Pepaxti hatóanyaga a melfalán-flufenamid.

Hogyan kell alkalmazni a Pepaxti-t?

A készítmény csak receptre kapható. A Pepaxti-kezelést a mielóma multiplex kezelésében tapasztalt orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

A gyógyszert egy 28 napos ciklus 1. napján, 30 percig tartó vénás infúzióban kell beadni, és az adag a testsúlytól függ. Az orvos csökkentheti vagy leállíthatja az adagot, ha a betegnél bizonyos mellékhatások jelentkeznek. A kezelést addig kell folytatni, amíg annak a beteg számára a továbbiakban már nincs előnye, vagy amíg a mellékhatások elfogadhatatlanná nem válnak.

A Pepaxti-val kombinált dexametazon javasolt adagja 40 mg szájon át minden 28 napos kezelési ciklus 1., 8., 15. és 22. napján. A 75 éves és idősebb betegek esetében a dexametazon ajánlott adagja 20 mg.

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



A Pepaxti alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejt ki hatását a Pepaxti?

A melfalán-flufenamid, amely a gyógyszer hatóanyaga, egy olyan rákgyógyszer, amely alkilező szerként ismert. Megzavarja a sejtek működéséhez és osztódásához szükséges genetikai utasítások, a DNS normális működését és javítását. Mivel a daganatos sejtek hajlamosak a normális sejteknél gyorsabban növekedni és osztódni, érzékenyebbek a gyógyszer hatásával szemben. A daganatos sejtek DNS-ének károsításával a melfalán-flufenamid segíthet elpusztítani ezeket a sejteket, és megakadályozni a daganat növekedését és terjedését.

Milyen előnyei voltak a Pepaxti alkalmazásának a vizsgálatok során?

A dexametazonnal együtt alkalmazott Pepaxti hatásosnak bizonyult a daganat elpusztításában egy fő vizsgálatban, amelyben 157 olyan, mielóma multiplexben szenvedő beteg vett részt, akiknek a betegsége három korábbi kezelés után már nem reagált a kezelésre, és kiújult. Klinikailag releváns eredményeket mutattak azon 52 beteg esetében, akik nem részesültek transzplantációban, vagy olyan transzplantáción estek át, és betegségük több mint 3 évvel később súlyosbodott. Ezeknél a betegeknek a betegek körülbelül 29%-ánál alakult ki terápiás válasz (ami a daganat jeleinek csökkenését jelenti) a Pepaxti és a dexametazon körülbelül 7,6 hónapig tartó alkalmazása mellett.

Egy további vizsgálatban, amelyben a Pepaxti-t és a dexametazont pomalidomiddal (egy másik daganatellenes gyógyszer) és dexametazonnal hasonlították össze, előnyös hatást figyeltek meg azoknál a betegeknek is, akik korábban nem részesültek transzplantációban vagy transzplantáción estek át, és betegségük az alábbiak után több mint 3 évvel súlyosbodott: A Pepaxti-t és dexametazont kapó betegek átlagosan 9,3 hónapig éltek a betegségük súlyosbodása nélkül, míg a pomalidomidot és dexametazont kapó betegeknek ez az időtartam 4,6 hónap volt. A Pepaxti-val és dexametazonnal kezelt betegek összességében 23,6 hónapig éltek, illetve 19,8 hónapig a pomalidomiddal és dexametazonnal.

Milyen kockázatokkal jár a Pepaxti alkalmazása?

A Pepaxti leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a trombocitopénia (alacsony vérlemezkesszám), neutropénia (a fehérvérsejtek egy típusának, a neutrofileknek az alacsony szintje), anémia (alacsony vörösvértestszám), hányinger, hasmenés és láz. A leggyakoribb súlyos mellékhatások a tüdőgyulladás, a trombocitopénia és a légúti fertőzés.

A Pepaxti szoptatás alatt nem alkalmazható.

A Pepaxti alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Pepaxti forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Pepaxti alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető. Az Ügynökség kielégítetlen gyógyszerigényt állapított meg azoknál a mielóma multiplexben szenvedő betegeknek, akik már nem reagálnak a rendelkezésre álló terápiákra. A vizsgálatok bizonyos korlátai ellenére az eredményeket klinikailag relevánsnak tekintették, kivéve az autológ őssejt-transzplantáción átesett betegek alcsoportját, akiknél a betegség a transzplantációt követő három éven belül súlyosbodott.

A biztonságosságot illetően, bár a Pepaxti-val végzett kezelés során megfigyeltek mellékhatásokat, beleértve a súlyos mellékhatásokat is, ezeket elfogadhatónak és kezelhetőnek tartották.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Pepaxti biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Pepaxti biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Pepaxti alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Pepaxti alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Pepaxti-val kapcsolatos egyéb információ

A Pepaxti-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti