



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pepaxti (*melfalāna flufenamīds*)

Pepaxti pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Pepaxti* un kāpēc tās lieto?

Pepaxti ir zāles, ko lieto, lai ārstētu pieaugušos ar multiplo mielomu (kaulu smadzeņu vēzi), kad vēzis nav reaģējis uz iepriekšējām terapijām (refraktārs).

Tās tiek lietotas kombinācijā ar deksametazonu (pretiekaisuma zālēm) pieaugušajiem, kuri saņēmuši vismaz trīs iepriekšējas terapijas, tostarp imūnmodulējošu aģentu, proteasomu inhibitoru un anti-CD38 antivielu, un kuru slimība kopš pēdējās ārstēšanas ir progresējusi.

Pacientiem, kuriem veikta autologa cilmes šūnu transplantācija (procedūra, kurā no pacienta kaulu smadzenēm iztīra šūnas un aizstāj ar cilmes šūnām no pašiem pacientiem), var lietot *Pepaxti*, ja laiks no transplantācijas līdz vēža recidīvam ir vismaz trīs gadi.

Multiplā mieloma ir "reta", un 2015. gada 19. martā *Pepaxti* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-15-1463>.

Pepaxti satur aktīvo vielu melfalāna flufenamīdu.

Kā lieto *Pepaxti*?

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti. Ārstēšana ar *Pepaxti* ir jāsāk un jāuzrauga ārstiem ar pieredzi multiplās mielomas ārstēšanā.

Tās tiek ievadītas vēnā 30 minūšu ilgās infūzijas veidā (pa pilienam) 28 dienu cikla 1. dienā, un deva ir atkarīga no ķermeņa masas. Ārsts var samazināt devu vai pārtraukt tās ievadīšanu, ja pacientam rodas konkrētas blakusparādības. Ārstēšana jāturpina, līdz pacientam no tās vairs nav ieguvuma vai blakusparādības kļūst nepieņemamas.

Deksametazona ieteicamā deva, lietojot to kombinācijā ar *Pepaxti*, ir 40 mg iekšķīgi katra 28-dienu terapijas cikla 1., 8., 15. un 22. dienā. Pacientiem no 75 gadu vecuma ieteicamā deksametazona deva ir 20 mg.

Papildu informāciju par *Pepaxti* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

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



Kā *Pepaxti* darbojas?

Melfalāna flufenamīds, kas ir šo zāļu aktīvā viela, ir pretvēža zāļu veids, ko sauc par alkilējošu aģentu. Tas traucē DNS normālai darbībai un reparācijai jeb ģenētiskajiem procesiem, kas nepieciešami, lai šūnas varētu funkcionēt un vairoties. Tā kā vēža šūnas aug un vairojas lielākā apmērā nekā parastās šūnas, tās ir uzņēmīgākas pret šo zāļu iedarbību. Bojājot vēža šūnu DNS, melfalāna flufenamīds var palīdzēt iznīcināt šīs šūnas un novērst vēža augšanu un izplatīšanos.

Kādi *Pepaxti* ieguvumi atklāti pētījumos?

Vienā pamatpētījumā ar 157 multiplās mielomas pacientiem, kuriem slimība vairs nereaģēja uz ārstēšanu un kuriem slimība bija recidivējusi pēc trim iepriekšējām terapijām, pierādīja, ka *Pepaxti*, lietojot kopā ar deksametazonu, efektīvi iznīcina vēzi. Klīniski nozīmīgus rezultātus konstatēja 52 pacientiem, kuriem vai nu nav veikta transplantācija, vai ir veikta transplantācija un kuriem slimība ir progresējusi vairāk nekā pēc trīs gadiem. No šiem pacientiem apmēram 29 % pacientu bija atbildes reakcija (kas nozīmē vēža pazīmju samazināšanos), lietojot *Pepaxti* un deksametazonu aptuveni 7,6 mēnešu garumā.

Papildu pētījumā, kurā salīdzināja *Pepaxti* un deksametazonu ar pomalidomīdu (citām pretvēža zālēm) un deksametazonu, labvēlīgu ietekmi novēroja arī pacientiem, kuriem iepriekš nebija veikta transplantācija vai kuriem bija veikta transplantācija un kuriem slimība progresēja vairāk nekā 3 gadus pēc: Pacienti, kuri saņēma *Pepaxti* un deksametazonu, nodzīvoja vidēji 9,3 mēnešus bez slimības progresēšanas salīdzinājumā ar 4,6 mēnešiem pacientiem, kuri saņēma pomalidomīdu un deksametazonu. Pacienti kopumā nodzīvoja arī 23,6 mēnešus, lietojot *Pepaxti* un deksametazonu, un 19,8 mēnešus, lietojot pomalidomīdu un deksametazonu.

Kāds risks pastāv, lietojot *Pepaxti*?

Visbiežākās *Pepaxti* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir trombocitopēnija (mazs trombocītu skaits), neitropēnija (zems neitrofilu, balto asins šūnu veida, līmenis), anēmija (mazs sarkano asins šūnu skaits), slikta dūša, caureja un drudzis. Visbiežākās nopietnās blakusparādības ir pneimoniya (plaušu infekcija), trombocitopēnija un elpceļu infekcija (elpceļu infekcija).

Pepaxti nedrīkst lietot barošanas ar krūti laikā.

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Pepaxti*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Pepaxti* ir reģistrētas ES?

Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Pepaxti*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES. Aģentūra atzīmēja, ka multiplās mielomas pacientiem, kuriem pieejamās ārstēšanas iespējas vairs nesniedz uzlabojumu, ir neapmierināta medicīniskā vajadzība. Lai gan pētījumos bija daži ierobežojumi, rezultātus uzskatīja par klīniski nozīmīgiem, izņemot to pacientu apakšgrupu, kuriem bija veikta autologo cilmes šūnu transplantācija un kuriem slimība bija progresējusi trīs gadu laikā pēc transplantācijas.

Attiecībā uz drošību, lai gan ārstējot ar *Pepaxti*, tika novērotas blakusparādības, tostarp smagas blakusparādības, tās tika uzskatītas par pieņemamām un kontrolējamām.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Pepaxti* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Pepaxti* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Pepaxti* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Pepaxti* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Pepaxti*

Sīkāka informācija par *Pepaxti* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

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