



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Pepaxti (melfalan flufenamide)

Een overzicht van Pepaxti en waarom het is geregistreerd in de EU

### Wat is Pepaxti en wanneer wordt het voorgeschreven?

Pepaxti is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van volwassenen met multipel myeloom (kanker van het beenmerg), bij wie de kanker niet heeft gereageerd op eerdere behandelingen (refractair).

Het middel wordt gebruikt in combinatie met dexamethason (een ontstekingsremmend geneesmiddel) bij volwassenen die ten minste drie eerdere therapieën hebben ondergaan, waaronder behandeling met een immunomodulerend middel, een proteasoomremmer en een anti-CD38-antilichaam, en bij wie de ziekte sinds de laatste behandeling is verergerd.

Voor patiënten die een autologe stamceltransplantatie hebben ondergaan (een procedure waarbij de cellen in het beenmerg van de patiënt worden verwijderd en worden vervangen door stamcellen van de patiënt zelf), kan Pepaxti worden gebruikt als de tijd tussen de transplantatie en het moment waarop de kanker terugkomt ten minste drie jaar is.

Multipel myeloom is zeldzaam, en Pepaxti werd op 19 maart 2015 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-15-1463>

Pepaxti bevat de werkzame stof melfalan flufenamide.

### Hoe wordt Pepaxti gebruikt?

Dit geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. De behandeling met Pepaxti moet worden gestart door en plaatsvinden onder toezicht van een arts met ervaring in de behandeling van multipel myeloom.

Het wordt toegediend via infusie (indruppeling) in een ader gedurende 30 minuten op dag 1 van een cyclus van 28 dagen, waarbij de dosis afhankelijk is van het lichaamsgewicht. De arts kan de dosis verlagen of stopzetten als zich bij de patiënt bepaalde bijwerkingen voordoen. De behandeling moet worden voortgezet tot de patiënt er geen voordeel meer van ondervindt of de bijwerkingen onaanvaardbaar worden.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)  
**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



De aanbevolen dosis dexamethason in combinatie met Pepaxti is 40 mg via de mond op dag 1, 8, 15 en 22 van elke behandelingscyclus van 28 dagen. Voor patiënten van 75 jaar en ouder is de aanbevolen dosis dexamethason 20 mg.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Pepaxti.

## **Hoe werkt Pepaxti?**

Melfalan flufenamide, de werkzame stof in dit geneesmiddel, is een type geneesmiddel tegen kanker dat alkylarend middel genoemd wordt. De stof beïnvloedt de normale werking en het herstel van DNA, de genetische instructies die cellen nodig hebben om te functioneren en zich te vermenigvuldigen. Omdat kankercellen de neiging hebben om meer te groeien en zich meer te vermenigvuldigen dan normale cellen zijn ze gevoeliger voor de werking van het geneesmiddel. Door het DNA van kankercellen te beschadigen, kan melfalan flufenamide helpen om deze cellen te doden en te voorkomen dat de kanker groeit en zich verspreidt.

## **Welke voordelen bleek Pepaxti tijdens de studies te hebben?**

In één hoofdstudie onder 157 patiënten met multipel myeloom bij wie de ziekte niet meer reageerde en na drie eerdere therapieën was teruggekomen, bleek Pepaxti in combinatie met dexamethason werkzaam te zijn bij het terugdringen van de kanker. Klinisch relevante resultaten werden aangetoond voor de 52 patiënten die geen transplantatie hadden ondergaan of die een transplantatie hadden ondergaan en bij wie de ziekte ruim drie jaar later verergerde. Bij deze patiënten vertoonde ongeveer 29 % een respons (wat een afname van de tekenen van de kanker betekent) met Pepaxti en dexamethason die ongeveer 7,6 maanden aanhield.

In een aanvullende studie waarin Pepaxti en dexamethason werden vergeleken met pomalidomide (een ander geneesmiddel tegen kanker) en dexamethason, werd ook een gunstig effect waargenomen bij patiënten die geen eerdere transplantatie hadden ondergaan of een transplantatie hadden ondergaan en bij wie de ziekte ruim drie jaar later verergerde. Patiënten die Pepaxti en dexamethason kregen, leefden gemiddeld 9,3 maanden zonder dat hun ziekte verergerde, tegenover 4,6 maanden voor patiënten die pomalidomide en dexamethason kregen. De patiënten leefden over het geheel genomen ook nog 23,6 maanden met Pepaxti en dexamethason en 19,8 maanden met pomalidomide en dexamethason.

## **Welke risico's houdt het gebruik van Pepaxti in?**

De meest voorkomende bijwerkingen van Pepaxti (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn trombocytopenie (laag aantal bloedplaatjes), neutropenie (laag aantal neutrofielen, een type witte bloedcellen), anemie (laag aantal rode bloedcellen), misselijkheid, diarree en koorts. De meest voorkomende ernstige bijwerkingen zijn pneumonie (longontsteking), trombocytopenie en luchtweginfectie (infectie van de luchtwegen).

Vrouwen die borstvoeding geven mogen Pepaxti niet gebruiken.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Pepaxti.

## **Waarom is Pepaxti geregistreerd in de EU?**

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Pepaxti groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU. Het

Geneesmiddelenbureau wees op de onvervulde medische behoefte bij patiënten met multipel myeloom wiens toestand niet langer verbeterd wordt met de beschikbare therapieën. Ondanks enkele beperkingen in de onderzoeken werden de resultaten als klinisch relevant beschouwd, met uitzondering van de subgroep patiënten die een autologe stamceltransplantatie hadden ondergaan en bij wie de ziekte binnen drie jaar na transplantatie verergerde.

Wat de veiligheid betreft, werden tijdens de behandeling met Pepaxti weliswaar bijwerkingen (waaronder ernstige) waargenomen, maar deze werden als aanvaardbaar en beheersbaar beschouwd.

### **Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Pepaxti te waarborgen?**

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Pepaxti, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Pepaxti continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Pepaxti worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

### **Overige informatie over Pepaxti**

Meer informatie over Pepaxti is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti)