



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Pepaxti (flufenamid melfalanu)

Przegląd wiedzy na temat leku Pepaxti i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

### Czym jest lek Pepaxti i w jakim celu się go stosuje

Pepaxti jest lekiem stosowanym w leczeniu osób dorosłych ze szpiczakiem mnogim (rak szpiku kostnego), gdy nie wystąpiła odpowiedź nowotworu na wcześniejsze metody leczenia (nowotwór oporny na leczenie).

Lek stosuje się w skojarzeniu z deksametazonem (lek przeciwzapalny) u osób dorosłych, którzy wcześniej otrzymali co najmniej trzy terapie, w tym lek immunomodulujący, inhibitor proteasomu i przeciwciała anti-CD38 i u których choroba nasiliła się od czasu ostatniego leczenia.

U pacjentów, którzy zostali poddani autologicznemu przeszczepowi komórek macierzystych (procedurze, w której szpik pacjenta jest oczyszczany z komórek i zastępowany komórkami macierzystymi samego pacjenta), można zastosować lek Pepaxti, jeżeli czas od przeszczepienia do nawrotu nowotworu wynosi co najmniej trzy lata.

Ze względu na to, że szpiczaka mnogiego uznano za chorobę rzadko występującą, w dniu 19 marca 2015 r. lek Pepaxti uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć tutaj:

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

Substancją czynną zawartą w leku Pepaxti jest melfalan flufenamid.

### Jak stosować lek Pepaxti

Lek wydawany na receptę. Leczenie z zastosowaniem leku Pepaxti musi rozpoczynać i nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu szpiczaka mnogiego.

Lek podaje się we wlewie (infuzji) trwającym 30 minut w pierwszym dniu 28-dniowego cyklu, a dawka zależy od masy ciała. Lekarz może zmniejszyć dawkę lub przerwać podawanie leku, jeśli u pacjenta wystąpią pewne działania niepożądane. Leczenie należy kontynuować, dopóki pacjent odnosi z niego korzyści lub do czasu wystąpienia niedopuszczalnych działań niepożądanych.

Zalecana dawka deksametazonu podawana w skojarzeniu z lekiem Pepaxti wynosi 40 mg doustnie w 1., 8., 15. i 22. dniu każdego 28-dniowego cyklu leczenia. U pacjentów w wieku 75 lat i starszych zalecana dawka deksametazonu wynosi 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](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



Więcej informacji o sposobie stosowania leku Pepaxti znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

## **Jak działa lek Pepaxti**

Melfalan flufenamid, substancja czynna tego leku, jest rodzajem leku przeciwnowotworowego zwanym środkiem alkilującym. Zakłóca on prawidłową funkcję i proces naprawy DNA, instrukcji genetycznych niezbędnych do funkcjonowania i namnażania się komórek. Komórki nowotworowe mają tendencję do wzrostu i namnażania się w szybszym tempie niż komórki prawidłowe, dlatego są bardziej wrażliwe na działanie tego leku. Uszkadzając DNA komórek nowotworowych, melfalan flufenamid może pomóc je zabić i zapobiec rozrostowi i rozprzestrzenianiu się nowotworu.

## **Korzyści ze stosowania leku Pepaxti wykazane w badaniach**

W jednym badaniu głównym z udziałem 157 pacjentów ze szpiczakiem mnogim, których nowotwór przestał reagować i powrócił po trzech poprzednich terapiach, wykazano, że lek Pepaxti przyjmowany wraz z deksametazonem jest skuteczny w usuwaniu nowotworu. Kluczowe wyniki zaobserwowano u 52 pacjentów, którzy nie zostali poddani przeszczepowi lub zostali poddani przeszczepowi i u których choroba nasiliła się po ponad 3 latach. W przypadku tych pacjentów u około 29% wystąpiła odpowiedź na leczenie (co oznacza zmniejszenie objawów nowotworu) po zastosowaniu leku Pepaxti i deksametazonu trwająca około 7,6 miesiąca.

W dodatkowym badaniu porównującym lek Pepaxti i deksametazon z pomalidomidem (inny lek przeciwnowotworowy) i deksametazonem korzystne działanie zaobserwowano również u pacjentów, którzy nie zostali wcześniej poddani przeszczepowi lub którzy zostali poddani przeszczepowi i u których choroba nasiliła się 3 lata później: pacjenci otrzymujący lek Pepaxti i deksametazon żyli średnio 9,3 miesiąca bez nasilenia choroby w porównaniu z 4,6 miesiąca w przypadku pacjentów otrzymujących pomalidomid i deksametazon. Całkowity czas przeżycia pacjentów przyjmujących lek Pepaxti i deksametazon wyniósł 23,6 miesiąca, a w przypadku stosowania pomalidomidu i deksametazonu – 19,8 miesiąca.

## **Ryzyko związane ze stosowaniem leku Pepaxti**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Pepaxti (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: małopłytkowość (niska liczba płytek krwi), neutropenia (niska liczba neutrofilów, rodzaju krwinek białych), niedokrwistość (niska liczba krwinek czerwonych), nudności, biegunka i gorączka. Najczęstsze poważne działania niepożądane to zapalenie płuc, małopłytkowość i zakażenie układu oddechowego (zakażenie górnych dróg oddechowych).

Leku Pepaxti nie wolno stosować podczas karmienia piersią.

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Pepaxti znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

## **Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Pepaxti w UE**

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Pepaxti przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE. Agencja zauważyła niezaspokojoną potrzebę medyczną u pacjentów ze szpiczakiem mnogim, którzy nie reagują już na dostępne terapie. Pomimo pewnych ograniczeń w badaniach wyniki uznano za klinicznie istotne, z wyjątkiem podgrupy pacjentów po autologicznym przeszczepie komórek macierzystych, u których doszło do nasilenia się choroby w ciągu trzech lat od momentu przeszczepienia.

W odniesieniu do bezpieczeństwa stosowania leku, choć w trakcie stosowania leku Pepaxti obserwowano działania niepożądane, w tym ciężkie działania niepożądane, uznano je za dopuszczalne i możliwe do kontrolowania.

### **Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Pepaxti**

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Pepaxti w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane na temat stosowania leku Pepaxti są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Pepaxti są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

### **Inne informacje dotyczące leku Pepaxti**

Dalsze informacje na temat leku Pepaxti znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti)