



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pepaxti (melfalano flufenamida)

Um resumo sobre Pepaxti e porque está autorizado na UE

O que é Pepaxti e para que é utilizado?

Pepaxti é um medicamento utilizado no tratamento de adultos com mieloma múltiplo (um cancro da medula óssea) quando o cancro não respondeu a tratamentos anteriores (refratários).

É utilizado em associação com dexametasona (um medicamento anti-inflamatório) em adultos que tenham recebido, pelo menos, três tratamentos anteriores, incluindo um agente imunomodulador, um inibidor do proteassoma e um anticorpo anti-CD38, e cuja doença se tenha agravado desde o último tratamento.

Para os doentes que receberam um transplante autólogo de células estaminais (um procedimento no qual as células da medula óssea do doente são eliminadas e substituídas por células estaminais dos próprios doentes), Pepaxti pode ser utilizado se o tempo decorrido entre o transplante e o reaparecimento do cancro for de, pelo menos, três anos.

O mieloma múltiplo é uma doença rara, e Pepaxti foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 19 de março de 2015. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas

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

Pepaxti contém a substância ativa melfalano flufenamida.

Como se utiliza Pepaxti?

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica. O tratamento com Pepaxti deve ser iniciado e supervisionado por médicos com experiência no tratamento do mieloma múltiplo.

É administrado por perfusão (administração gota a gota) numa veia durante 30 minutos no dia 1 de um ciclo de 28 dias, e a dose depende do peso corporal. O médico pode reduzir ou interromper a dose caso o doente desenvolva determinados efeitos secundários. O tratamento deve continuar até que o doente deixe de beneficiar do mesmo ou até que os efeitos secundários se tornem inaceitáveis.

A dose recomendada de dexametasona administrada em associação com Pepaxti é de 40 mg por via oral nos dias 1, 8, 15 e 22 de cada ciclo de tratamento de 28-dias. Para doentes com idade igual ou superior a 75 anos, a dose recomendada de dexametasona é de 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



Para mais informações sobre a utilização de Pepaxti, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Pepaxti?

A flufenamida melfalano, a substância ativa deste medicamento, é um tipo de medicamento contra o cancro conhecido como agente alquilante. Interfere com a função normal e a reparação do ADN, as instruções genéticas de que as células necessitam para funcionar e se multiplicarem. Uma vez que as células cancerosas tendem a crescer e a multiplicar-se mais do que as células normais, são mais vulneráveis à ação do medicamento. Ao danificar o ADN das células cancerosas, o melfalano flufenamida pode ajudar a matá-las e impedir o crescimento e a propagação do cancro.

Quais os benefícios demonstrados por Pepaxti durante os estudos?

Pepaxti tomado em associação com dexametasona demonstrou ser eficaz na eliminação do cancro num estudo principal que incluiu 157 doentes com mieloma múltiplo cuja doença deixou de responder e reapareceu após três terapêuticas anteriores. Foram demonstrados resultados clinicamente relevantes para os 52 doentes que não receberam um transplante ou que receberam um transplante e cuja doença progrediu mais de 3 anos após o transplante. Nesses doentes, cerca de 29 % apresentaram uma resposta (o que significa uma redução dos sinais do cancro) com Pepaxti e dexametasona que durou cerca de 7,6 meses.

Num estudo adicional que comparou Pepaxti e dexametasona com pomalidomida (outro medicamento contra o cancro) e dexametasona, foi também observado um efeito benéfico em doentes que não tinham sido anteriormente submetidos a transplante ou que tinham recebido um transplante e cuja doença progrediu mais de 3 anos após: Os doentes que receberam Pepaxti e dexametasona viveram uma média de 9,3 meses sem agravamento da doença, em comparação com 4,6 meses nos doentes que receberam pomalidomida e dexametasona. Os doentes também viveram globalmente com 23,6 meses com Pepaxti e dexametasona e 19,8 meses com pomalidomida e dexametasona.

Quais são os riscos associados a Pepaxti?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Pepaxti (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são trombocitopenia (contagens baixas de plaquetas), neutropenia (níveis baixos de neutrófilos, um tipo de glóbulo branco), anemia (contagens baixas de glóbulos vermelhos), náuseas, diarreia e febre. Os efeitos secundários graves mais frequentes são pneumonia (infecção dos pulmões), trombocitopenia e infecção do trato respiratório (infecção das vias respiratórias).

O uso do Pepaxti é contraindicado durante a amamentação.

Para a lista completa de restrições de utilização e de efeitos secundários comunicados relativamente a Pepaxti, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Pepaxti autorizado na UE?

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Pepaxti são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE. A Agência salientou a necessidade médica não satisfeita dos doentes com mieloma múltiplo que deixaram de melhorar com as terapêuticas disponíveis. Apesar de algumas limitações nos estudos, os resultados foram considerados clinicamente relevantes, à exceção do subgrupo de doentes que receberam um transplante autólogo de células estaminais e cuja doença progrediu no prazo de três anos após o transplante.

Relativamente à segurança, embora tenham sido observados efeitos secundários, incluindo efeitos graves, no tratamento com Pepaxti, os mesmos foram considerados aceitáveis e controláveis.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Pepaxti?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Pepaxti.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Pepaxti são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Pepaxti são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Pepaxti

Mais informações sobre Pepaxti podem ser encontradas no sítio da internet da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti