



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Pepaxti (melfalan flufenamid)

Pregled zdravila Pepaxti in zakaj je odobreno v EU

### Kaj je zdravilo Pepaxti in za kaj se uporablja?

Zdravilo Pepaxti se uporablja za zdravljenje odraslih z diseminiranim plazmacitomom (rakom kostnega mozga), pri katerih se rak ni odzval na predhodna zdravljenja (refraktarna oblika).

Uporablja se v kombinaciji z deksametazonom (protivnetnim zdravilom) za zdravljenje odraslih, ki so pred tem prejeli vsaj tri zdravljenja, vključno z imunomodulacijskim zdravilom, zaviralcem proteasoma in protitelesom proti CD38, in pri katerih se je bolezen od zadnjega zdravljenja poslabšala.

Pri bolnikih, pri katerih je bila opravljena avtologna presaditev matičnih celic (postopek, pri katerem iz bolnikovega kostnega mozga odstranijo celice in jih nadomestijo z matičnimi celicami samih bolnikov), se zdravilo Pepaxti lahko uporablja, če je od presaditve do ponovitve raka minilo vsaj tri leta.

Diseminirani plazmacitom je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Pepaxti 19. marca 2015 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-15-1463>

Zdravilo Pepaxti vsebuje učinkovino melfalan flufenamid.

### Kako se zdravilo Pepaxti uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept. Zdravljenje z zdravilom Pepaxti morajo uvesti in nadzorovati zdravniki z izkušnjami pri zdravljenju diseminiranega plazmacitoma.

Prvi dan 28-dnevnega cikla se daje s 30-minutnim infundiranjem (kapalno infuzijo) v veno, odmerek pa je odvisen od telesne mase. Če se pri bolniku pojavijo določeni neželeni učinki, bo zdravnik morda odmerek zmanjšal ali zdravljenje prekinil. Zdravljenje traja, dokler ima bolnik od njega koristi ali dokler neželeni učinki ne postanejo nesprejemljivi.

Priporočeni odmerek deksametazona, ki se daje v kombinaciji z zdravilom Pepaxti, je 40 mg peroralno 1., 8., 15. in 22. dan vsakega 28-dnevnega cikla zdravljenja. Priporočeni odmerek deksametazona za bolnike, starejše od 75 let, je 20 mg.

Za več informacij glede uporabe zdravila Pepaxti glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

---

**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



## **Kako zdravilo Pepaxti deluje?**

Melfalan flufenamid, učinkovina v tem zdravilu, je vrsta zdravila za zdravljenje raka, znana kot alkilirajoča učinkovina. Ovira normalno delovanje in popravljanje DNK, tj. genetskih navodil, ki jih celice potrebujejo za delovanje in podvajanje. Ker rakave celice rastejo hitreje in se razmnožujejo bolj kot normalne celice, so bolj dovzetne za delovanje tega zdravila. Ko melfalan flufenamid poškoduje DNK rakavih celic, jih lahko uniči ter prepreči rast in širjenje raka.

## **Kakšne koristi zdravila Pepaxti so se pokazale v študijah?**

Zdravilo Pepaxti v kombinaciji z deksametazonom se je izkazalo za učinkovito pri odstranjevanju raka v eni glavni študiji, v katero je bilo vključenih 157 bolnikov z diseminiranim plazmacitomom, pri katerih se je bolezen prenehala odzivati na zdravljenja in se je ponovila po treh predhodnih zdravljenjih. Klinično pomembni rezultati so bili dokazani pri 52 bolnikih, ki bodisi niso prejeli presadka bodisi so prestali presaditev in pri katerih je bolezen napredovala več kot tri leta po presaditvi. Pri teh bolnikih se je približno 29 % bolnikov odzvalo na zdravljenje z zdravilom Pepaxti in deksametazonom (kar pomeni zmanjšanje znakov raka), kar je trajalo približno 7,6 meseca.

V dodatni študiji, v kateri so zdravilo Pepaxti in deksametazon primerjali s pomalidomidom (drugim zdravilom za zdravljenje raka) in deksametazonom, so koristni učinek opazili tudi pri bolnikih, ki niso imeli predhodne presaditve ali pa so imeli presaditev in je pri njih bolezen napredovala več kot tri leta po presaditvi. Bolniki, ki so prejeli zdravilo Pepaxti in deksametazon, so v povprečju živeli 9,3 meseca brez poslabšanja bolezni v primerjavi s 4,6 meseca pri bolnikih, ki so prejeli pomalidomid in deksametazon. Bolniki so v splošnem živeli 23,6 meseca z zdravilom Pepaxti in deksametazonom, 19,8 meseca pa s pomalidomidom in deksametazonom.

## **Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Pepaxti?**

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Pepaxti (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) so trombocitopenija (nizko število trombocitov v krvi), nevtropenija (nizko število nevtrofilcev, vrste belih krvnih celic), anemija (nizko število rdečih krvnih celic), navzeja (siljenje na bruhanje), driska in povišana telesna temperatura. Najpogostejši resni neželeni učinki so pljučnica (okužba pljuč), trombocitopenija in okužba dihal (okužba dihalnih poti).

Zdravilo Pepaxti se ne sme uporabljati med dojenjem.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Pepaxti glejte navodilo za uporabo.

## **Zakaj je bilo zdravilo Pepaxti odobreno v EU?**

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Pepaxti večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU. Agencija je opozorila na neizpolnjeno medicinsko potrebo pri bolnikih z diseminiranim plazmacitomom, ki se ne odzivajo več na razpoložljivo zdravljenje. Kljub nekaterim omejitvam v študijah so bili rezultati ocenjeni kot klinično pomembni, z izjemo podskupine bolnikov, pri katerih je bila opravljena avtologna presaditev matičnih celic in je bolezen v treh letih po presaditvi napredovala.

Čeprav so bili pri zdravljenju z zdravilom Pepaxti opaženi neželeni učinki, vključno z resnimi neželenimi učinki, so bili ti ocenjeni kot sprejemljivi in obvladljivi.

## **Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Pepaxti?**

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Pepaxti upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Pepaxti stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Pepaxti, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

## **Druge informacije o zdravilu Pepaxti**

Nadaljnje informacije za zdravilo Pepaxti so na voljo na spletni strani agencije:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti)