



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pepaxti (melfalanflufenamid)

Sammanfattning av Pepaxti och varför det är godkänt inom EU

Vad är Pepaxti och vad används det för?

Pepaxti är ett läkemedel som används för att behandla vuxna med multipelt myelom (en cancer i benmärgen) när cancer inte har svarat på tidigare behandlingar (refraktär sjukdom).

Det ges i kombination med dexametason (ett antiinflammatoriskt läkemedel) till vuxna som har fått minst tre tidigare behandlingar, däribland en immunmodulerare, en proteasomhämmare och en anti-CD38-antikropp, och vars sjukdom har förvärrats sedan den senaste behandlingen.

För patienter som har genomgått autolog stamcellstransplantation (ett förfarande där patientens benmärg rensas från celler och ersätts av patientens egna stamceller) kan Pepaxti användas om det gått minst tre år mellan transplantationen och cancerens återkomst.

Multipelt myelom är sällsynt och Pepaxti klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 19 mars 2015. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns här: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-15-1463>

Pepaxti innehåller den aktiva substansen melfalanflufenamid.

Hur används Pepaxti?

Läkemedlet är receptbelagt. Behandling med Pepaxti måste inledas och övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla multipelt myelom.

Det ges genom infusion (dropp) i en ven under 30 minuter dag 1 i en 28-dagarscykel, och dosen beror på kroppsvikten. Läkaren kan minska dosen eller avbryta behandlingen om patienten får vissa biverkningar. Behandlingen ska fortsätta så länge den är till nytta för patienten eller tills biverkningarna blir oacceptabla.

Den rekommenderade dosen av dexametason vid kombinationsbehandling med Pepaxti är 40 mg genom munnen dag 1, 8, 15 och 22 i varje behandlingscykel på 28 dagar. För patienter som är 75 år och äldre är den rekommenderade dosen dexametason 20 mg.

För mer information om hur du använder Pepaxti, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.



Hur verkar Pepaxti?

Melfalanflufenamid, den aktiva substansen i detta läkemedel, tillhör en typ av cancerläkemedel som kallas alkylerande medel. Den stör den normala funktionen och reparationen av DNA, det vill säga de genetiska instruktioner som cellerna behöver för att fungera och föröka sig. Eftersom cancerceller tenderar att växa och föröka sig mer än normala celler är de också känsligare för läkemedlets verkan. Genom att skada cancercellernas DNA kan melfalanflufenamid hjälpa till att döda cancercellerna och förhindra att cancer växer och sprider sig.

Vilka fördelar med Pepaxti har visats i studierna?

I en huvudstudie på 157 patienter med multipelt myelom vars sjukdom inte längre svarade på behandling och hade kommit tillbaka efter tre tidigare behandlingar visades Pepaxti som kombinationsbehandling med dexametason vara effektivt för att eliminera cancer. Kliniskt relevanta resultat visades för de 52 patienter som antingen inte genomgått en transplantation eller som genomgått en transplantation och vars sjukdom förvärrades när mer än tre år gått efter denna. Av dessa patienter svarade cirka 29 procent (där ett "svar" innebar att tecknen på cancer minskade) på kombinationsbehandlingen Pepaxti plus dexametason under cirka 7,6 månader.

I en annan studie jämfördes Pepaxti tillsammans med dexametason med pomalidomid (ett annat cancerläkemedel) tillsammans med dexametason. Studien visade på en gynnsam effekt hos patienter som inte hade genomgått någon transplantation eller som genomgått en transplantation men vars sjukdom förvärrades när mer än tre år gått efter denna. Patienter som fick Pepaxti och dexametason levde i genomsnitt i 9,3 månader utan att sjukdomen förvärrades, jämfört med 4,6 månader för de patienter som fick pomalidomid och dexametason. Den totala överlevnaden för patienterna som fick Pepaxti plus dexametason var 23,6 månader, jämfört med 19,8 månader för dem som fick pomalidomid plus dexametason.

Vilka är riskerna med Pepaxti?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Pepaxti (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är trombocytopeni (lågt antal blodplättar), neutropeni (låga nivåer av neutrofiler, en typ av vita blodkroppar), anemi (lågt antal röda blodkroppar), illamående, diarré och feber. De vanligaste allvarliga biverkningarna är pneumoni (lunginfektion), trombocytopeni och luftvägsinfektion.

Pepaxti får inte användas under amning.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Pepaxti finns i bipacksedeln.

Varför är Pepaxti godkänt i EU?

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Pepaxti är större än riskerna och att Pepaxti kan godkännas för försäljning i EU. EMA noterade det ouppfyllda medicinska behovet hos patienter med multipelt myelom som inte längre förbättras av tillgängliga behandlingar. Trots vissa begränsningar i studierna ansågs resultaten vara kliniskt relevanta, med undantag för den undergrupp av patienter som hade genomgått autolog stamcellstransplantation och vars sjukdom förvärrades inom tre år efter transplantationen.

Vad gäller säkerheten ansågs de biverkningar som orsakas av Pepaxti vara godtagbara och hanterbara, även om vissa av dem är allvarliga.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Pepaxti?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Pepaxti har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Pepaxti kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Pepaxti utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Pepaxti

Mer information om Pepaxti finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti