



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

Pepaxti (melfalán flufenamida)

Información general sobre Pepaxti y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Pepaxti y para qué se utiliza?

Pepaxti es un medicamento que se utiliza para el tratamiento de adultos con mieloma múltiple (un cáncer de la médula ósea) cuando el cáncer no ha respondido a tratamientos anteriores (refractario).

Se utiliza en combinación con dexametasona (un medicamento antiinflamatorio) en pacientes adultos que han recibido al menos tres tratamientos anteriores, incluido un agente inmunomodulador, un inhibidor de proteasoma y un anticuerpo monoclonal anti-CD38, y cuya enfermedad ha empeorado desde el último tratamiento.

En el caso de los pacientes que se han sometido a un trasplante autólogo de células madre (procedimiento por el que se eliminan las células de la médula ósea del paciente y se sustituyen por células madre de los propios pacientes), Pepaxti puede utilizarse si el tiempo transcurrido desde el trasplante hasta que el cáncer reaparece es de al menos tres años.

El mieloma múltiple es una enfermedad «rara», y Pepaxti ha sido designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 19 de marzo de 2015. Puede encontrar información adicional sobre las designaciones como medicamento huérfano en:

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

Pepaxti contiene el principio activo melfalán flufenamida.

¿Cómo se usa Pepaxti?

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica. El tratamiento con Pepaxti debe iniciarlo y supervisarlo un médico con experiencia en el tratamiento del mieloma múltiple.

Se administra mediante perfusión (goteo) en una vena durante 30 minutos el día 1 de un ciclo de 28 días, y la dosis depende del peso corporal. El médico puede reducir o interrumpir la dosis si el paciente desarrolla ciertos efectos adversos. El tratamiento deberá continuar hasta que deje de resultar beneficioso para el paciente o hasta que los efectos adversos resulten inaceptables.

La dosis recomendada de dexametasona administrada en combinación con Pepaxti es de 40 mg por vía oral los días 1, 8, 15 y 22 de cada ciclo de tratamiento de 28-días. Para los pacientes de 75 años o más, la dosis recomendada de dexametasona es 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 mayor información sobre el uso de Pepaxti, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Pepaxti?

El principio activo de este medicamento, melfalán flufenamida, es un tipo de medicamento contra el cáncer conocido como alquilante. Interfiere con la función normal y la reparación del ADN, las instrucciones genéticas que necesitan las células para funcionar y multiplicarse. Dado que las células cancerosas tienden a crecer y a multiplicarse más que las células normales, son más vulnerables a la acción del medicamento. Al dañar el ADN de las células cancerosas, melfalán flufenamida puede contribuir a destruirlas e impedir que el cáncer crezca y se propague.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Pepaxti en los estudios realizados?

Pepaxti, administrado junto con dexametasona, demostró ser eficaz para eliminar el cáncer en un estudio principal en el que participaron 157 pacientes con mieloma múltiple cuya enfermedad había dejado de responder al tratamiento y había reaparecido después de tres tratamientos anteriores. Se demostraron resultados clínicamente relevantes en los 52 pacientes que no habían recibido un trasplante o que lo habían recibido y cuya enfermedad había registrado una progresión más de 3 años después. En estos pacientes, alrededor del 29 % presentó una respuesta (lo que significa una reducción de los signos del cáncer) con Pepaxti y dexametasona que duró alrededor de 7,6 meses.

En un estudio adicional en el que se comparó Pepaxti y dexametasona con pomalidomida (otro medicamento contra el cáncer) y dexametasona, también se observó un efecto beneficioso en pacientes que no habían recibido un trasplante anterior o habían recibido un trasplante y cuya enfermedad había registrado una progresión más de 3 años después: Los pacientes que recibieron Pepaxti y dexametasona vivieron un promedio de 9,3 meses sin que su enfermedad empeorase, en comparación con 4,6 meses en el caso de los pacientes que recibieron pomalidomida y dexametasona. Los pacientes también vivieron un total de 23,6 meses con Pepaxti y dexametasona y 19,8 meses con pomalidomida y dexametasona.

¿Cuál es el riesgo asociado a Pepaxti?

Los efectos adversos más frecuentes de Pepaxti (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son trombocitopenia (recuento bajo de plaquetas en sangre), neutropenia (niveles bajos de neutrófilos, un tipo de glóbulo blanco), anemia (recuento bajo de glóbulos rojos), náuseas, diarrea y fiebre. Los efectos adversos graves más frecuentes son neumonía (infección de los pulmones), trombocitopenia e infección del tracto respiratorio (infección de las vías respiratorias).

Pepaxti no debe utilizarse durante la lactancia.

La lista completa de efectos adversos y restricciones comunicados sobre Pepaxti puede consultarse en el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Pepaxti en la UE?

La Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Pepaxti son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE. La Agencia observó una necesidad médica aún no cubierta en los pacientes con mieloma múltiple que han dejado de mejorar con los tratamientos disponibles. A pesar de que en los estudios se apreciaban ciertas limitaciones, los resultados se consideraron clínicamente relevantes, con la excepción del subgrupo de pacientes que recibieron un

trasplante autólogo de células madre y cuya enfermedad progresó en los tres años posteriores al trasplante.

Por lo que respecta a la seguridad, aunque en el tratamiento con Pepaxti se han observado efectos adversos, incluso de carácter grave, estos se consideran aceptables y manejables.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Pepaxti?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Pepaxti se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Pepaxti se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados con Pepaxti se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otras informaciones sobre Pepaxti

Puede encontrar información adicional sobre Pepaxti en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti.