



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pepaxti (melphalan flufénamide)

Aperçu de Pepaxti et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Pepaxti et dans quel cas est-il utilisé?

Pepaxti est un médicament utilisé pour le traitement des adultes atteints de myélome multiple (un cancer de la moelle osseuse) lorsque le cancer n'a pas répondu à des traitements antérieurs (réfractaire).

Il est utilisé en association avec la dexaméthasone (un médicament anti-inflammatoire) chez les adultes qui ont reçu au moins trois traitements antérieurs, dont un agent immunomodulateur, un inhibiteur du protéasome et un anticorps anti-CD38, et dont la maladie s'est aggravée depuis le dernier traitement.

Pour les patients ayant reçu une autogreffe de cellules souches (une procédure au cours de laquelle la moelle osseuse du patient est débarrassée des cellules et remplacée par des cellules souches provenant du patient lui-même), Pepaxti peut être utilisé si le délai entre la transplantation et la récurrence du cancer est d'au moins trois ans.

Le myélome multiple est rare et Pepaxti a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 19 mars 2015. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après:

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

Pepaxti contient la substance active melphalan flufénamide.

Comment Pepaxti est-il utilisé?

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement par Pepaxti doit être instauré et supervisé par des médecins expérimentés dans le traitement du myélome multiple.

Il est administré par perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine pendant 30 minutes le premier jour d'un cycle de 28 jours, et la dose dépend du poids corporel. Le médecin peut réduire ou arrêter la dose si le patient développe certains effets indésirables. Le traitement doit être poursuivi jusqu'à ce que le patient n'en tire plus de bénéfice ou que les effets indésirables deviennent inacceptables.

La dose recommandée de dexaméthasone administrée en association avec Pepaxti est de 40 mg par voie orale, les jours 1, 8, 15 et 22 de chaque cycle de traitement de 28 jours. Pour les patients âgés de 75 ans et plus, la dose recommandée de dexaméthasone est 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



Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Pepaxti, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Pepaxti agit-il?

Le melphalan flufénamide, la substance active de ce médicament, est un type de médicament anticancéreux connu sous le nom d'agent alkylant. Il interfère avec la fonction normale et la réparation de l'ADN, les instructions génétiques dont les cellules ont besoin pour fonctionner et se multiplier. Les cellules cancéreuses ayant tendance à davantage se développer et se multiplier que les cellules normales, elles sont plus vulnérables à l'action du médicament. En endommageant l'ADN des cellules cancéreuses, le melphalan flufénamide peut contribuer à les tuer et à empêcher le cancer de se développer et de se propager.

Quels sont les bénéfices de Pepaxti démontrés au cours des études?

Pepaxti pris en association avec la dexaméthasone s'est avéré efficace pour éliminer le cancer dans une étude principale portant sur 157 patients atteints de myélome multiple dont la maladie a cessé de répondre et était réapparue après trois traitements antérieurs. Des résultats cliniquement pertinents ont été démontrés pour les 52 patients qui n'ont pas reçu de greffe ou qui ont reçu une greffe et dont la maladie a progressé plus de trois ans après. Pour ces patients, environ 29 % ont présenté une réponse (ce qui signifie une réduction des signes du cancer) sous Pepaxti et dexaméthasone pendant environ 7,6 mois.

Dans une étude supplémentaire comparant Pepaxti et la dexaméthasone au pomalidomide (un autre médicament anticancéreux) et à la dexaméthasone, un effet bénéfique a également été observé chez les patients qui n'avaient pas reçu de greffe ou qui avaient reçu une greffe et dont la maladie avait progressé plus de trois ans après: les patients recevant Pepaxti et de la dexaméthasone ont vécu en moyenne 9,3 mois sans aggravation de leur maladie, contre 4,6 mois pour les patients recevant du pomalidomide et de la dexaméthasone. Les patients ont également vécu dans l'ensemble 23,6 mois sous Pepaxti et dexaméthasone et 19,8 mois sous pomalidomide et dexaméthasone.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Pepaxti?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Pepaxti (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont les suivants: thrombocytopénie (faible nombre de plaquettes sanguines), neutropénie (faible taux de neutrophiles, un type de globules blancs), anémie (faible nombre de globules rouges), nausées, diarrhée et fièvre. Les effets indésirables graves les plus fréquents sont la pneumonie (infection des poumons), la thrombocytopénie et l'infection des voies respiratoires (infection des voies aériennes).

Pepaxti ne doit pas être utilisé pendant l'allaitement.

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Pepaxti, voir la notice.

Pourquoi Pepaxti est-il autorisé dans l'UE?

L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Pepaxti sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE. L'Agence a noté le besoin médical non satisfait des patients atteints d'un myélome multiple dont l'état ne s'améliore plus au moyen des thérapies disponibles. Malgré certaines limites des études, les résultats ont été considérés comme

cliniquement pertinents, à l'exception du sous-groupe de patients qui ont reçu une greffe autologue de cellules souches et dont la maladie a progressé dans les trois ans suivant la greffe.

En ce qui concerne la sécurité, bien que des effets indésirables, y compris graves, aient été observés avec le traitement par Pepaxti, ceux-ci ont été considérés comme acceptables et gérables.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Pepaxti?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Pepaxti ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Pepaxti sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés avec Pepaxti sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Pepaxti:

Des informations sur Pepaxti sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pepaxti