



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pepaxti (melfalan flufenamide)

Sintesi di Pepaxti e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Pepaxti e per cosa si usa?

Pepaxti è un medicinale usato per il trattamento di adulti affetti da mieloma multiplo (un cancro del midollo osseo) che non ha risposto ai trattamenti precedenti (refrattari).

È usato in associazione con desametasone (un medicinale antinfiammatorio) negli adulti che hanno seguito almeno tre terapie precedenti, tra cui un agente immunomodulatore, un inibitore del proteasoma e un anticorpo anti-CD38, e la cui malattia è peggiorata dall'ultimo trattamento.

Nei pazienti sottoposti a trapianto autologo di cellule staminali (una procedura in cui le cellule del midollo osseo del paziente vengono eliminate e sostituite con cellule staminali del paziente stesso), Pepaxti può essere utilizzato se sono trascorsi almeno tre anni dal trapianto alla ricomparsa del cancro.

Il mieloma multiplo è raro e Pepaxti è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 19 marzo 2015. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-15-1463>

Pepaxti contiene il principio attivo melfalan flufenamide.

Come si usa Pepaxti?

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. La terapia con Pepaxti deve essere iniziata e condotta sotto la supervisione di medici esperti nel trattamento del mieloma multiplo.

È somministrato per infusione (flebo) in vena nell'arco di 30 minuti il giorno 1 di un ciclo di 28 giorni e la dose dipende dal peso corporeo. Il medico può ridurre o sospendere la dose se il paziente sviluppa determinati effetti indesiderati. Il trattamento deve continuare finché il paziente non ne trae più beneficio o fino a quando gli effetti indesiderati diventano inaccettabili.

La dose raccomandata di desametasone somministrato in associazione a Pepaxti è di 40 mg per via orale nei giorni 1, 8, 15 e 22 di ciascun ciclo di trattamento di 28 giorni. Per i pazienti di età pari o superiore a 75 anni, la dose raccomandata di desametasone è di 20 mg.

Per maggiori informazioni sull'uso di Pepaxti, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.



Come agisce Pepaxti?

Melfalan flufenamide, il principio attivo di questo medicinale, è un tipo di medicinale antitumorale noto come agente alchilante. Interferisce con la normale funzione e riparazione del DNA, le istruzioni genetiche di cui necessitano le cellule per funzionare e moltiplicarsi. Poiché tendono a crescere e a moltiplicarsi più delle cellule normali, le cellule tumorali sono più vulnerabili all'azione del medicinale. Danneggiando il DNA delle cellule tumorali, melfalan flufenamide può contribuire a distruggerle e a prevenire la crescita e la diffusione del cancro.

Quali benefici di Pepaxti sono stati evidenziati negli studi?

Pepaxti assunto in associazione a desametasone si è dimostrato efficace nell'eliminare il cancro in uno studio principale condotto su 157 pazienti affetti da mieloma multiplo la cui malattia non rispondeva più e che si era ripresentata dopo tre terapie precedenti. Sono stati dimostrati risultati clinicamente rilevanti nei 52 pazienti che non erano stati sottoposti a trapianto o che sono stati sottoposti a trapianto e la cui malattia era progredita più di 3 anni dopo. Di questi pazienti, circa il 29 % ha avuto una risposta (ovvero una riduzione dei segni del cancro) con Pepaxti e desametasone della durata di circa 7,6 mesi.

Anche in un ulteriore studio che ha messo a confronto Pepaxti e desametasone con pomalidomide (un altro medicinale antitumorale) e desametasone, è stato osservato un effetto benefico nei pazienti che non erano stati precedentemente sottoposti a trapianto o che erano stati sottoposti a trapianto e la cui malattia era progredita più di 3 anni dopo: i pazienti trattati con Pepaxti e desametasone sono vissuti in media 9,3 mesi senza che la loro malattia peggiorasse rispetto ai 4,6 mesi dei pazienti che ricevevano pomalidomide e desametasone. Inoltre, la sopravvivenza dei pazienti è stata complessivamente di 23,6 mesi con Pepaxti e desametasone e di 19,8 mesi con pomalidomide e desametasone.

Quali sono i rischi associati a Pepaxti?

Gli effetti indesiderati più comuni di Pepaxti (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono trombocitopenia (basso numero di piastrine nel sangue), neutropenia (bassi livelli di neutrofili, un tipo di globuli bianchi), anemia (basso numero di globuli rossi), nausea, diarrea e febbre. Gli effetti indesiderati gravi più frequenti sono polmonite (infezione dei polmoni), trombocitopenia e infezione delle vie respiratorie (infezione delle vie aeree).

Pepaxti non deve essere usato durante l'allattamento.

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Pepaxti, vedere il foglio illustrativo.

Perché Pepaxti è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Pepaxti sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE. L'Agenzia ha rilevato la necessità medica non soddisfatta nei pazienti affetti da mieloma multiplo che non migliorano più con le terapie disponibili. Nonostante alcune limitazioni degli studi, i risultati sono stati considerati clinicamente rilevanti, a eccezione del sottogruppo di pazienti sottoposti a trapianto autologo di cellule staminali in cui la malattia è progredita entro tre anni dal trapianto.

Quanto alla sicurezza, sebbene nel trattamento a base di Pepaxti siano stati osservati effetti indesiderati (anche gravi), questi sono stati considerati accettabili e gestibili.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Pepaxti?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Pepaxti sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Pepaxti sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Pepaxti sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Pepaxti

Ulteriori informazioni su Pepaxti sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

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