

# Opwindende vooruitgang bij myeloom: FDA-goedkeuring van melfalan-flufenamide en belangrijke onderzoeksresultaten gepubliceerd

4 maart 2021

Op 26 februari [keurde](#) de Food and Drug Administration (FDA) melfalan-flufenamide (Pepaxto®) in combinatie met dexamethason goed voor de behandeling van recidiverend of refractair myeloom bij patiënten die ten minste vier lijnen van eerdere therapie hebben gekregen, waaronder een IMiD, proteasoomremmer en een CD38-gericht monoklonaal antilichaam.

Volgens [de Journal of Clinical Oncology van 1 maart 2021](#) is Pepaxto® een stikstofmosterdremmer van de volgende generatie, een eersteklas middel dat werd geëvalueerd in de fase II HORIZON-studie. [De studie](#) omvatte 157 patiënten en resulteerde in een totaal responspercentage van 29% en PFS (progressievrije overleving) van 8,5 maanden bij reagerende patiënten. Het veiligheidsprofiel was acceptabel en de conclusie van hoofdauteur Dr. Paul Richardson is dat Pepaxto een belangrijke nieuwe behandeling is voor patiënten met recidiverende of refractaire ziekte. De resultaten worden verder geëvalueerd in de [gerandomiseerde studie van OCEAN](#), waarin de resultaten worden vergeleken met pomalidomide plus dexamethason.

**BODEMLIJN:** Het is geweldig om een andere optie beschikbaar te hebben met een uniek nieuw werkingsmechanisme. We kijken uit naar verdere proeven met verschillende combinaties in eerdere ziektesituaties.

## Gepubliceerd in NEJM: Resultaten van de idecabtagene vicleucel CAR T-therapie studie

Op 28 februari werden [de resultaten van de fase II ide-cel studie](#) bij patiënten met refractair myeloom gepubliceerd in de NEJM. In deze studie werden patiënten behandeld met T-cellen (autoloog, dat wil

zeggen hun eigen) die waren ontworpen om B-celrijpingantigeen (BCMA) op het oppervlak van het myeloom te richten. Van de 140 ingeschreven patiënten kregen er 128 een ide-celbehandeling. Het totale responspercentage (OR) was 73%, waarbij 33% complete respons (CR) ervoer en 26% negatieve MRD (minimale residuele ziekte) bereikte op het 10 tot -5 niveau. Verlaagde bloedwaarden en het cytokine-release-syndroom (CRS) waren de meest voorkomende toxische effecten. Echter, graad 3 of hoger (ernstig) CRS trad op bij slechts 5% van de patiënten.

Over het algemeen waren de resultaten buitengewoon veelbelovend, met een mediane responsduur van 10,7 maanden, progressievrije overleving (PFS) van 8,8 maanden en totale overleving van 19,4 maanden. Patiënten die een volledige respons of beter bereikten, hadden een langere responsduur van 19 maanden.

Het goede nieuws is dat ongeveer een derde van de patiënten zinvolle responsen behaalde in het bereik van één tot twee jaar of beter, waardoor een uitstekende levenskwaliteit mogelijk werd zonder enige vorm van conventionele antimyeloomtherapie - een groot voordeel !

Ide-cel-therapie wordt momenteel beoordeeld bij de FDA en aanbevelingen met betrekking tot mogelijke officiële goedkeuring zullen later deze maand beschikbaar zijn.

## **Andere recent gepubliceerde artikelen**

- **Immuundysregulatie bij myeloom**

[Een uitstekende recensie in het tijdschrift Blood](#) met Kyehei Nakamura als eerste auteur geeft inzicht in de complexiteit en dynamische aard van de immuunrespons bij patiënten met myeloom. Het gastheer (of normale) immuunsysteem "fungeert als een reostaat die de balans tussen kiemrust en ziekteprogressie verfijnt", schrijft hij. Elk van de verschillende stromacellen (die rond het myeloom in het beenmerg) hebben unieke functies bij het moduleren van de groei en persistentie van myelomacellen.

- **Resultaten van diepe MRD-profilering**

[Een belangrijk artikel](#) met [een begeleidend redactioneel artikel](#) in Blood benadrukt de verschillende aspecten en betekenis van MRD-testpatiënten met standaardrisico versus myeloom met een hoger risico. Het behalen van een negatieve MRD-status (op het 10 tot -5 niveau of beter) is cruciaal voor patiënten met een hoogrisico ziekte om de kans op een beter resultaat maximaal te vergroten. Patiënten met een standaardrisico op ziekte hebben meer kans om een MRD-negatieve status te bereiken en profiteren van een veel beter resultaat in deze setting.

### • **Behandeladviezen van de IMWG Botwerkgroep**

Eerder in februari werden de Bone Therapy Recommendations gepubliceerd in [Lancet Oncology](#). Deze belangrijke update bevat een bespreking van het nieuwe middel denosumab, een alternatief voor bisfosfonaten zoals Aredia of Zometa. Ook de duur van bottherapieën en de rol van bestralingstherapie en chirurgie komen aan bod.

## **Conclusie**

Het is geweldig om te zien dat myeloomonderzoek sterk vooruitgaat met de goedkeuring van een ander nieuw middel en mogelijke goedkeuring van een eerste CAR T-celtherapie voor myeloom in de nabije toekomst. In de tussentijd moeten patiënten sterk en veerkrachtig blijven (bekijk het [IMF Living Well-webinar over veerkracht](#)) tijdens deze [MYELOMA-ACTIEMAND](#).

Werken aan het vergroten van de veerkracht is tegenwoordig zeker een hoofddoel. "De crisis van een jaar heeft een verschrikkelijke tol geëist van de geestelijke gezondheid", schrijft Melinda Wenner Moyer in het huidige nummer van Scientific American. "Omgaan met methoden op basis van rampen- en traumapsychologie kunnen helpen." Moyer citeert Mana Ali, een psycholoog in het MedStar Rehabilitation Hospital: "Je kunt je bang en angstig en boos en wrokkig voelen en tegelijkertijd een overwinnaar en veerkrachtig zijn." Als u zich alleen voelt, stelt het artikel voor, meld u dan aan voor Caring Calls, een non-profitorganisatie die wekelijkse telefoongesprekken mogelijk maakt, door te bellen naar (212) 769-2850.

Het is belangrijk dat patiënten zich zo snel mogelijk tegen COVID-19 laten vaccineren en een masker blijven dragen en andere

voorzorgsmaatregelen nemen. Houd er rekening mee dat het in orde is om het vaccin te krijgen dat het eerst beschikbaar is. Gevaccineerd worden is het belangrijkste doel!

Wees gezond en blijf veilig.