

Melflufen beim Multiplen Myelom

Ergebnisse der HORIZON-Studie¹

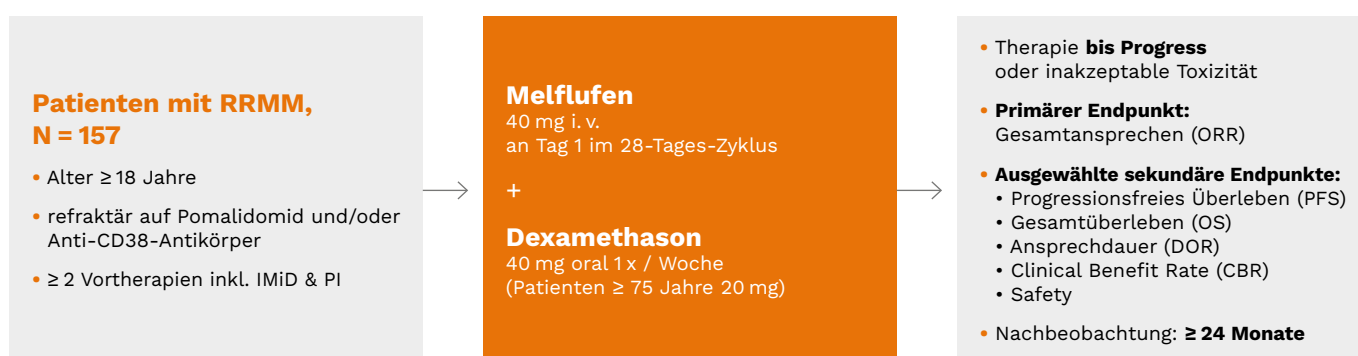


Zur Vollpublikation
Richardson PG et al.
2021

HORIZON:

Phase-II-Studie, 1-armig, multizentrisch zur Untersuchung der Wirksamkeit und Verträglichkeit von **Melphalanflufenamid (Melflufen) + Dexamethason (Dex)** bei Patienten mit stark vorbehandeltem RRMM und schlechter Prognose.

Studiendesign:



Patientencharakteristika:

119 der 157 Patienten waren **triple-class refraktär (TCR)**. Das Alter betrug im Median **65 Jahre**. Die Patienten hatten im Median **5 Vortherapien**. Der Anteil der Patienten mit **Hochrisiko-Zytogenetik** lag in der Gesamtpopulation bei 38 % und in der triple-class refraktären Subgruppe bei 34 %. Der Anteil mit **Extramedullärer Erkrankung** lag bei 35 % in der Gesamtpopulation und 42 % in der triple-class refraktären Subgruppe.

Ansprechen:

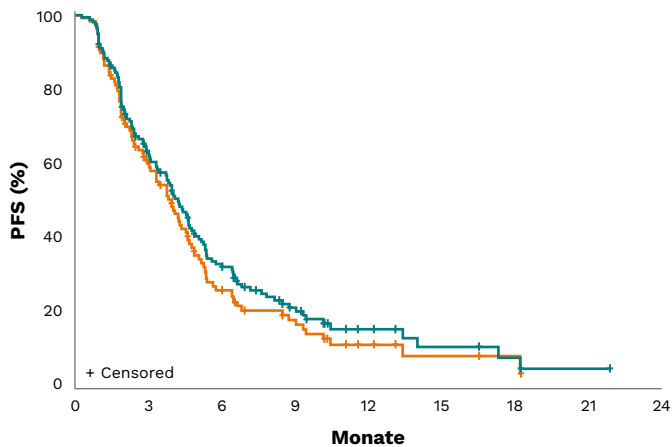
	Gesamt- Ansprechen (ORR)	Sehr gutes Ansprechen (VGPR)	Partielles Ansprechen (PR)	Ansprechdauer (DOR)
Gesamtpopulation (N = 157)¹	29 %	11 %	18 %	5,5 Mon.
Zugelassene Population (n = 52)*.2	28,8 %	9,6 %	19,2 %	7,6 Mon.

* TCR Patienten mit mind. 3 Vortherapien, die keine ASCT hatten bzw. mehr als 36 Monate nach ASCT eine Progression aufwiesen

Progressionsfreies Überleben (PFS) und Gesamtüberleben (OS):

PFS nach Median 5 Vortherapien

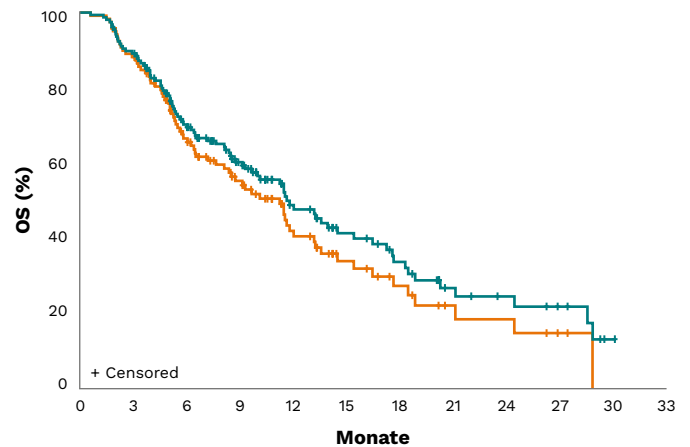
4,2 Mon. (3,9 Mon. TCR)¹



Population	Ereignisse, n (%)	mPFS Mon., (95 % CI)
Gesamtpopulation (N = 157)	121 (77,1)	4,2 (3,4 – 4,9)
Triple-class refraktär (n = 119)	94 (79,0)	3,9 (3,0 – 4,6)

OS nach Median 5 Vortherapien

11,6 Mon. (11,2 Mon. TCR)¹



Population	Ereignisse, n (%)	mOS Mon., (95 % CI)
Gesamtpopulation (N = 157)	88 (56,1)	11,6 (9,3 – 15,4)
Triple-class refraktär (n = 119)	72 (60,5)	11,2 (7,7 – 13,2)

Verträglichkeit:

Die HORIZON-Studie zeigte ein gut handhabbares Verträglichkeitsprofil. Es traten keine neuen, unerwarteten Nebenwirkungen auf. Die häufigsten Grad 3/4 Nebenwirkungen waren Neutropenie (79 %), Thrombozytopenie (76 %) und Anämie (43 %). Pneumonie war mit 10 % die häufigste nicht-hämatologische Grad 3/4 Nebenwirkung (9 % Grad 3, 1 % Grad 4).

Zusammenfassung:

HORIZON ist die zulassungsrelevante, einarmige, multizentrische Phase-II-Studie für die Kombination von Melflufen + Dex bei Patienten mit stark vorbehandeltem RRMM und schlechter Prognose. Sie zeigte für die Kombination von Melflufen + Dex eine klinisch bedeutsame Wirksamkeit mit einem **Gesamtansprechen (ORR) von 28,8 %** und einer medianen **Ansprechdauer (DOR) von 7,6 Monaten** in der zugelassenen Population (n = 52).² Das Verträglichkeitsprofil war gut handhabbar. Neue unerwartete Nebenwirkungen traten nicht auf.

¹ Richardson PG, et al. J Clin Oncol 2021; 39: 757 – 767.
² Fachinformation Pepaxti®.