



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/198526/2025
EMA/H/C/006382

Alyftrek (*deutivacaftor/tezacaftor/vanzacaftor*)

Общ преглед на Alyftrek и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Alyftrek и за какво се използва?

Alyftrek е лекарство, което се използва при хора на възраст 6 и повече години за лечение на кистозна фиброза — наследствено заболяване с тежки ефекти върху белите дробове, храносмилателната система и други органи.

Кистозната фиброза може да бъде причинена от различни мутации (промени) в гена, който съдържа инструкции за изработване на белтъка „трансмембранен регулатор на проводимостта при кистозна фиброза“ (CFTR).

Мутациите в гена *CFTR* са групирани в пет различни класа (от клас I до клас V) въз основа на проблемите, които причиняват при производството на белтъка CFTR. Alyftrek се прилага при хора, при които кистозната фиброза се причинява от поне една мутация, която не е мутация от клас I. Мутациите от клас I са мутации, които водят до непроизвеждане на белтък CFTR.

Кистозната фиброза се счита за рядко заболяване и Alyftrek е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 12 ноември 2021 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на [уебсайта](#) на ЕМА.

Alyftrek съдържа активните вещества деутивакафтор (*deutivacaftor*), тезакафтор (*tezacaftor*) и ванзакафтор (*vanzacaftor*).

Как се използва Alyftrek?

Alyftrek се отпуска по лекарско предписание. Трябва да се предписва само от медицински специалисти с опит в лечението на кистозна фиброза.

Alyftrek се предлага под формата на таблетки, приемани през устата веднъж дневно с храна, съдържащи мазнини. Дозата зависи от телесното тегло на пациента. Може да се наложи дозата Alyftrek да бъде намалена, ако пациентът приема също вид лекарство, наречено „умерен или силен инхибитор на СYP3A“, например определени антибиотици или лекарства против гъбични инфекции, тъй като те може да повлияят върху начина, по който Alyftrek действа в организма.

За повече информация относно употребата на Alyftrek вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

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



Как действа Alyftrek?

Кистозната фиброза се причинява от мутации в гена за CFTR. Този ген води до производството на CFTR протеин, който действа на повърхността на клетките за регулиране на производството на слюз в белите дробове и храносмилателните сокове в червата. Мутациите понижават броя на CFTR протеините върху повърхността на клетката или повлияват върху начина на действие на протеина, в резултат на което слюзта и храносмилателните течности са твърде гъсти, което води до блокиране, възпаление, повишен риск от белодробни инфекции и лошо храносмилане и растеж.

Две от активните вещества в Alyftrek, ванзакафтор и тезакафтор, увеличават броя на белтъците CFTR по клетъчната повърхност, а другото, деутивакафтор, подобрява активността на дефектния белтък CFTR. Тези действия се комбинират и правят слюзта и храносмилателните сокове по-малко плътни, като по този начин облекчават симптомите на заболяването.

Какви ползи от Alyftrek са установени в проучванията?

В две основни проучвания при хора на възраст 12 и повече години с кистозна фиброза Alyftrek е също толкова ефективен, колкото друго лекарство, Kaftrio, за подобряване на функцията на белите дробове. Kaftrio, което съдържа ивакафтор, тезакафтор и елексакафтор, винаги се прилага заедно с лекарство, съдържащо само ивакафтор. Kaftrio се използва при хора с кистозна фиброза, причинена от поне една мутация, която не е мутация клас I в гена *CFTR*.

И в двете проучвания участниците на възраст над 12 години получават лечение с Kaftrio в продължение на четири седмици, след което получават или Alyftrek, или продължават лечението с Kaftrio. Основната мярка за ефективност и в двете проучвания е промяната в ппФЕО1, което представлява максималното количество въздух, което човек може да издиша за една секунда, в сравнение със стойности от средностатистически човек със сходни характеристики (като възраст, височина и пол). Нормалният ппФЕО1 обикновено е близо 100 процентни пункта, когато белите дробове функционират правилно.

Първото проучване обхваща 405 участници с мутация *F508del* и мутация с минимална функция. Мутациите с минимална функция не произвеждат (почти) никакъв белтък CFTR или произвеждат дефектен белтък CFTR, който не реагира на модулаторите на CFTR. След първите 4 седмици на лечение с Kaftrio пациентите в проучването имат средна стойност на ппФЕО1 от 67,1 процентни пункта. След 24 седмици на лечение ппФЕО1 се поддържа както при участниците, приемащи Alyftrek, така и при пациентите, приемащи Kaftrio.

Второто проучване обхваща 573 участници със и без мутация *F508del*. Тези, които нямат мутация *F508del*, имат поне една мутация, която се повлиява от лечението с Kaftrio. След първите 4 седмици на лечение с Kaftrio участниците в проучването имат средна стойност на ппФЕО1 от 66,8 процентни пункта. След 24 седмици на лечение ппФЕО1 се поддържа както при участниците, приемащи Alyftrek, така и при пациентите, приемащи Kaftrio.

Фирмата също така е представила данни от проучване, обхващащо 78 деца на възраст от 6 до 11 години с кистозна фиброза, причинена от поне една мутация, реагираща на лечението с Kaftrio. В проучването не се сравнява Alyftrek с друго лекарство или плацебо (сляпо лечение). Данните от проучването показват, че Alyftrek действа по същия начин при деца на възраст от 6 до 11 години, както при по-големи деца и възрастни. Освен това въздействието на Alyftrek върху белодробната функция при деца на възраст от 6 до 11 години като цяло съответства на наблюдаваното при по-големи деца и възрастни в двете основни проучвания.

Какви са рисковете, свързани със Alyftrek?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Alyftrek вижте листовката.

Най-честите нежелани лекарствени реакции при Alyftrek (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) включват главоболие и диария. Някои нежелани реакции могат да бъдат сериозни. Най-често срещаните при Alyftrek (които може да засегнат не повече от 1 на 100 души) включват увеличаване на чернодробните ензими, което може да е признак за проблеми с черния дроб.

Защо Alyftrek е разрешен за употреба в ЕС?

Показано е, че Alyftrek е поне толкова ефективен, колкото Kaftrio, за лечение на хора с кистозна фиброза. Профилът на безопасност на Alyftrek е подобен на този на Kaftrio; при Alyftrek не са установени нови опасения във връзка с безопасността. Съществуват обаче ограничени данни за дългосрочната безопасност, особено при децата. Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Alyftrek са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Alyftrek?

Фирмата, която предлага Alyftrek, ще проведе проучване въз основа на регистър на пациентите, за да предостави допълнителни данни за безопасността и ефективността на Alyftrek при хора с кистозна фиброза, причинена от поне една мутация, която не е мутация от клас I.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Alyftrek, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Alyftrek непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Alyftrek, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Alyftrek

Допълнителна информация за Alyftrek можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/alyftrek.