



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/198527/2025
EMA/H/C/006382

Alyftrek (*deutivakaftor/tezakaftor/vanzakaftor*)

Přehled pro přípravek Alyftrek a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Alyftrek a k čemu se používá?

Alyftrek je léčivý přípravek, který se používá u osob ve věku od 6 let k léčbě cystické fibrózy, což je dědičné onemocnění, které má závažné účinky na plíce, trávicí systém a další orgány.

Cystická fibróza může být způsobena různými mutacemi (změnami) v genu, který obsahuje instrukce k tvorbě bílkoviny zvané „transmembránový regulátor vodivosti u cystické fibrózy“ (CFTR).

Mutace v genu *CFTR* jsou seskupeny do pěti různých tříd (od třídy I do třídy V), a to na základě problémů, které způsobují při tvorbě bílkoviny CFTR. Přípravek Alyftrek se používá u osob, jejichž cystická fibróza je způsobena alespoň jednou mutací, která není mutací třídy I. Mutace třídy I jsou mutace, které způsobují, že nedochází k tvorbě žádné bílkoviny CFTR.

Cystická fibróza je vzácné onemocnění a přípravek Alyftrek byl označen dne 12. listopadu 2021 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Přípravek Alyftrek obsahuje léčivé látky deutivakaftor, tezakaftor a vanzakaftor.

Jak se přípravek Alyftrek používá?

Výdej přípravku Alyftrek je vázán na lékařský předpis. Měli by jej předepisovat pouze zdravotničtí pracovníci, kteří mají zkušenosti s léčbou cystické fibrózy.

Přípravek Alyftrek je k dispozici ve formě tablet užívaných ústy jednou denně, a to s jídlem obsahujícím tuk. Dávka závisí na tělesné hmotnosti pacienta. Pokud pacient současně užívá typ léčivého přípravku zvaný „středně silný nebo silný inhibitor CYP3A“, jako jsou určitá antibiotika nebo léčivé přípravky proti plísňovým infekcím, může být nutné dávku přípravku Alyftrek snížit, protože tyto léčivé přípravky mohou ovlivnit způsob, jakým přípravek Alyftrek v těle působí.

Více informací o používání přípravku Alyftrek naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

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



Jak přípravek Alyftrek působí?

Cystická fibróza je způsobena mutacemi v genu *CFTR*. Tento gen vede k tvorbě bílkoviny CFTR, která působí na povrchu buněk a reguluje tvorbu hlenu v plicích a trávicích šťáv ve střevech. Mutace snižují množství bílkoviny CFTR na povrchu buněk nebo ovlivňují způsob působení této bílkoviny, což má za následek nadměrné houstnutí hlenu a trávicích šťáv. To vede k ucpávání, zánětu, zvýšenému riziku plicních infekcí a špatnému trávení a růstu.

Dvě z léčivých látek v přípravku Alyftrek, vanzakaftor a tezakaftor, zvyšují množství bílkoviny CFTR na povrchu buněk, zatímco třetí léčivá látka, deutivakaftor, zvyšuje aktivitu vadné bílkoviny CFTR. Tyto účinky společně vedou k naředění hlenu a trávicích šťáv, což pomáhá zmírnit příznaky onemocnění.

Jaké přínosy přípravku Alyftrek byly prokázány v průběhu studií?

Pokud jde o zlepšení funkce plic, byl přípravek Alyftrek ve dvou hlavních studiích u osob ve věku od 12 let s cystickou fibrózou stejně účinný jako jiný léčivý přípravek Kaftrio. Přípravek Kaftrio, který obsahuje ivakaftor, tezakaftor a elexakaftor, se vždy podává společně s léčivým přípravkem obsahujícím pouze ivakaftor. Přípravek Kaftrio se používá u osob s cystickou fibrózou způsobenou alespoň jednou mutací v genu *CFTR*, která není mutací třídy I.

V obou studiích byli účastníci starší 12 let léčeni přípravkem Kaftrio po dobu čtyř týdnů. Poté jim byl podáván buď přípravek Alyftrek, nebo pokračovali v léčbě přípravkem Kaftrio. Hlavním měřítkem účinnosti v obou studiích byla změna hodnoty ppFEV1, což je maximální objem vzduchu, který dokáže pacient vydechnout za jednu sekundu, ve srovnání s hodnotami naměřenými u průměrné osoby s obdobnými charakteristikami (jako je věk, výška a pohlaví). Normální hodnota ppFEV1 se při správném fungování plic obvykle blíží 100 procentním bodům.

Do první studie bylo zařazeno 405 účastníků s mutací *F508del* a mutací s „minimální funkcí“. Mutace s minimální funkcí neprodukuje (téměř) žádnou bílkovinu CFTR nebo produkuje vadnou bílkovinu CFTR, která na modulátory CFTR nereaguje. Po prvních 4 týdnech léčby přípravkem Kaftrio vykazovali pacienti zařazení do studie průměrnou hodnotu ppFEV1 67,1 procentního bodu. Po 24 týdnech léčby se hodnota ppFEV1 udržela ve stejné výši jak u účastníků, kterým byl podáván přípravek Alyftrek, tak u účastníků, kterým byl podáván přípravek Kaftrio.

Do druhé studie bylo zařazeno 573 účastníků s mutací *F508del* i bez ní. Pacienti bez mutace *F508del* vykazovali nejméně jednu mutaci, která na léčbu přípravkem Kaftrio reagovala. Po prvních 4 týdnech léčby přípravkem Kaftrio vykazovali účastníci studie průměrnou hodnotu ppFEV1 66,8 procentního bodu. Po 24 týdnech léčby se hodnota ppFEV1 udržela ve stejné výši jak u účastníků, kterým byl podáván přípravek Alyftrek, tak u účastníků, kterým byl podáván přípravek Kaftrio.

Společnost ředložila rovněž údaje ze studie zahrnující 78 dětí ve věku od 6 do 11 let s cystickou fibrózou způsobenou alespoň jednou mutací reagující na léčbu přípravkem Kaftrio. Tato studie nesrovnávala přípravek Alyftrek s jiným léčivým přípravkem ani placebem (neúčinným přípravkem). Údaje ze studie prokázaly, že přípravek Alyftrek působí u dětí ve věku od 6 do 11 let stejným způsobem jako u starších dětí a dospělých. Kromě toho byl účinek přípravku Alyftrek na funkci plic u dětí ve věku od 6 do 11 let obecně v souladu s účinkem pozorovaným ve dvou hlavních studiích u starších dětí a dospělých.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Alyftrek?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Alyftrek je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Alyftrek (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou bolest hlavy a průjem. Některé nežádoucí účinky mohou být závažné. Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Alyftrek (které mohou postihnout až 1 osobu ze 100) jsou zvýšení hladin jaterních enzymů, což může být známkou problémů s játry.

Na základě čeho byl přípravek Alyftrek registrován v EU?

Bylo prokázáno, že při léčbě osob s cystickou fibrózou je přípravek Alyftrek přinejmenším stejně účinný jako přípravek Kaftrio. Bezpečnostní profil přípravku Alyftrek je podobný bezpečnostnímu profilu přípravku Kaftrio. U přípravku Alyftrek nebyla zjištěna žádná nová bezpečnostní rizika. Údaje o dlouhodobé bezpečnosti, zejména u dětí, jsou však omezené. Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Alyftrek převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Alyftrek?

Společnost, která přípravek Alyftrek dodává na trh, provede studii založenou na registru pacientů, aby poskytla další údaje o bezpečnosti a účinnosti přípravku Alyftrek u osob s cystickou fibrózou způsobenou alespoň jednou mutací, která není mutací třídy I.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Alyftrek, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Alyftrek průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Alyftrek jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Alyftrek

Další informace o přípravku Alyftrek jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/alyftrek.