



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/198528/2025
EMA/H/C/006382

Alyftrek (*denyttevacaftor/tezacaftor/vanzacaftor*)

En oversigt over Alyftrek, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Alyftrek, og hvad anvendes det til?

Alyftrek er et lægemiddel til behandling af patienter på 6 år og derover med cystisk fibrose. Cystisk fibrose er en arvelig sygdom, der har svære virkninger på lungerne, fordøjelsessystemet og andre organer.

Cystisk fibrose kan skyldes forskellige mutationer (forandringer) i det gen, som indeholder instruktioner om at danne et protein, der hedder "cystisk fibrose transmembranøs konduktansregulator" (CFTR).

Mutationer i *CFTR*-genet inddeles i fem forskellige klasser (klasse I til klasse V) på grundlag af de problemer, de forårsager i forbindelse med fremstillingen af CFTR-proteinet. Alyftrek anvendes hos personer, hvis cystisk fibrose skyldes mindst én mutation, der ikke er en klasse I-mutation. Klasse I-mutationer er mutationer, der resulterer i, at der ikke produceres noget CFTR-protein.

Cystisk fibrose er sjælden, og Alyftrek blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 12. november 2021. Der findes mere information om lægemidler til sjældne sygdomme på EMA's [websted](#).

Alyftrek indeholder de aktive stoffer deutivacaftor, tezacaftor og vanzacaftor.

Hvordan anvendes Alyftrek?

Alyftrek fås kun på recept. Det bør kun ordineres af sundhedspersoner, der har erfaring med behandling af cystisk fibrose.

Alyftrek fås som tabletter, der tages gennem munden én gang dagligt sammen med fedtholdig mad. Dosen afhænger af patientens legemsvægt. Det kan være nødvendigt at reducere dosen af Alyftrek, hvis patienten også tager en type lægemiddel kaldet en "moderat eller stærk CYP3A-hæmmer", f.eks. visse antibiotika eller lægemidler mod svampeinfektioner, da de kan påvirke den måde, Alyftrek virker på i kroppen.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Alyftrek, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

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



Hvordan virker Alyftrek?

Cystisk fibrose skyldes mutationer i CFTR-genet. Dette gen fører til dannelsen af CFTR-proteinet, som virker på cellernes overflade ved at regulere produktionen af slim i lungerne og fordøjelsvæsker i tarmen. Mutationerne nedsætter antallet af CFTR-proteiner på celleoverfladen eller griber ind i proteinets virkemåde. Derved bliver slimmen og fordøjelsvæskerne for tyktflydende, så der opstår blokeringer, betændelse, øget risiko for lungeinfektioner og dårlig fordøjelse og vækst.

To af de aktive stoffer i Alyftrek, vanzacaftor og tezacaftor, øger antallet af CFTR-proteiner på celleoverfladen, og det andet, deutivacaftor, øger det defekte CFTR-proteins aktivitet. Tilsammen forventes disse virkemåder at være med til at gøre slimmen i lungerne og fordøjelsvæskerne mindre tyktflydende og medvirker derved til at lindre symptomerne på sygdommen.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Alyftrek?

Alyftrek var lige så effektivt som et andet lægemiddel, Kaftrio, til at forbedre lungefunktionen i to hovedstudier hos personer i alderen 12 år og derover med cystisk fibrose. Kaftrio, som indeholder ivacaftor, tezacaftor og elexacaftor, gives altid sammen med et lægemiddel, der indeholder ivacaftor alene. Kaftrio anvendes hos personer med cystisk fibrose, som skyldes mindst én mutation, der ikke er en klasse I-mutation i *CFTR*-genet.

I begge studier fik deltagere over 12 år behandling med Kaftrio i fire uger og fik derefter enten Alyftrek eller fortsat behandling med Kaftrio. Virkningen i begge studier blev hovedsagelig bedømt på ændringen i ppFEV1, som er den maksimale mængde luft, en person kan udånde på et sekund sammenlignet med værdier fra en gennemsnitsperson med lignende karakteristika (f.eks. alder, højde og køn). En normal ppFEV1 ligger typisk tæt på 100 procentpoint, når lungerne fungerer korrekt.

Det første studie omfattede 405 deltagere med en *F508del*-mutation og en "minimal funktionsmutation". Minimale funktionsmutationer producerer (næsten) intet CFTR-protein eller et defekt CFTR-protein, der ikke reagerer på CFTR-modulatorer. Efter de første 4 ugers behandling med Kaftrio havde patienterne i studiet en gennemsnitlig ppFEV1 på 67,1 procentpoint. Efter 24 ugers behandling blev ppFEV1 opretholdt hos både de deltagere, der fik Alyftrek, og dem, der fik Kaftrio.

Det andet studie omfattede 573 deltagere med og uden en *F508del*-mutation. Patienterne uden en *F508del*-mutation havde mindst én mutation, som reagerede på behandling med Kaftrio. Efter de første 4 ugers behandling med Kaftrio havde deltagerne i studiet en gennemsnitlig ppFEV1 på 66,8 procentpoint. Efter 24 ugers behandling blev ppFEV1 opretholdt hos både de deltagere, der fik Alyftrek, og dem, der fik Kaftrio.

Virksomheden fremlagde desuden data fra et studie med 78 børn i alderen 6-11 år med cystisk fibrose forårsaget af mindst én mutation, der responderer på behandling med Kaftrio. I studiet blev Alyftrek ikke sammenlignet med et andet lægemiddel eller placebo (en uvirksom behandling). Data fra studiet viste, at Alyftrek virker på samme måde hos børn i alderen 6-11 år, som det gør hos ældre børn og voksne. Alyftreks virkning på lungefunktionen hos børn i alderen 6-11 år svarede generelt til virkningen hos ældre børn og voksne i de to hovedstudier.

Hvilke risici er der forbundet med Alyftrek?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Alyftrek fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Alyftrek (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er hovedpine og diarré. Nogle bivirkninger kan være alvorlige. De mest almindelige bivirkninger ved

Alyftrek (som kan forekomme hos op til 1 ud af 100 personer) omfatter en stigning i leverenzzymer, som kan være tegn på leverproblemer.

Hvorfor er Alyftrek godkendt i EU?

Det er påvist, at Alyftrek er mindst lige så effektivt som Kaftrio til behandling af personer med cystisk fibrose. Alyftreks sikkerhedsprofil svarer til sikkerhedsprofilen for Kaftrio. Der blev ikke fundet nye sikkerhedsproblemer med Alyftrek. Der foreligger imidlertid kun begrænsede data om den langsigtede sikkerhed, især hos børn. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Alyftrek opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Alyftrek anvendes sikkert og effektivt?

Virksomheden, der markedsfører Alyftrek, vil gennemføre et studie baseret på et patientregister for at tilvejebringe yderligere data om sikkerheden og virkningen af Alyftrek hos personer med cystisk fibrose forårsaget af mindst én mutation, der ikke er en klasse I-mutation.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Alyftrek anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Alyftrek løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Alyftrek vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Alyftrek

Yderligere information om Alyftrek findes på agenturets websted under:

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