



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/438446/2020  
EMA/H/C/005269

## Kaftrio (ivacaftor / tezacaftor / elexacaftor)

Общ преглед на Kaftrio и основания за разрешаване в ЕС

### Какво представлява Kaftrio и за какво се използва?

Kaftrio е лекарство, което се използва за лечение на пациенти на възраст 12 и повече години с 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 на протеин, наречен „регулатор на трансмембранната проводимост при кистозна фиброза“ (CFTR). Хората имат 2 копия от този ген — по едно от всеки родител — и заболяването се развива само когато в двете копия има мутация.

Kaftrio се използва при пациенти, при които кистозната фиброза се дължи на мутацията *F508del*, наследена от един или от двамата родители. Ако са унаследили тази мутация само от един родител, трябва да имат и друга мутация, наречена „мутация с минимална функция (MF)“ от другия родител.

Кистозната фиброза се счита за рядко заболяване и Kaftrio е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 14 декември 2018 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите тук:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3182117>.

Kaftrio съдържа активните вещества ивакафтор (ivacaftor), тезакафтор (tezacaftor) и елексакафтор (elexacaftor).

### Как се използва Kaftrio?

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание. Kaftrio трябва да се предписва само от здравен специалист с опит в лечението на кистозна фиброза.

Kaftrio се предлага се под формата на таблетки. Всяка таблетка съдържа 75 mg ивакафтор, 50 mg тезакафтор и 100 mg елексакафтор. Kaftrio трябва да се приема заедно с друго лекарство, съдържащо само ивакафтор. Препоръчителната дневна доза е две таблетки Kaftrio сутрин с храна, съдържаща мазнини, и една таблетка ивакафтор (150 mg) вечер, около 12 часа по-късно.



Може да се наложи дозите на Kaftrio и ивакафтор да се намалят, ако пациентът приема и лекарство, наречено „умерен или силен инхибитор на СУРЗА“, например определени антибиотици или лекарства за гъбични инфекции. При пациенти с намалена чернодробна функция може да се наложи лекарят да коригира дозата.

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

## **Как действа Kaftrio?**

Кистозната фиброза се причинява от мутации в CFTR гена. 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 секретите на клетките, които произвеждат слюз и храносмилателни течности, са твърде гъсти и водят до блокиране, възпаление, повишен риск от белодробни инфекции и лошо храносмилане и растеж.

Две от активните вещества в Kaftrio — елексакафтор и тезакафтор — увеличават броя на CFTR протеините на клетъчната повърхност, а другото — ивакафтор — подобрява активността на дефектния CFTR протеин. Тези действия се комбинират и правят слюзта и храносмилателните сокове по-малко плътни, като по този начин облекчават симптомите на заболяването.

## **Какви ползи от Kaftrio са установени в проучванията?**

В две основни проучвания при пациенти с кистозна фиброза на възраст от 12 години и повече е доказано, че Kaftrio, приеман заедно с ивакафтор, е ефективен за подобряване на белодробната функция. Основната мярка за ефективност е ппФЕО1, което е 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). В тези проучвания пациентите започват със стойности от 60 до 62 % от стойностите при средностатистически здраво лице.

Първото проучване обхваща 403 пациенти, които имат *F508del* и MF мутация. След 24 седмици на лечение пациентите, приемали Kaftrio и ивакафтор, имат средно повишение на ппФЕО1 с 13,9 процентни пункта в сравнение с намаление с 0,4 процентни пункта при пациентите на плацебо (сляпо лечение).

Във второто проучване, обхващащо 107 пациенти с мутация *F508del* от двамата родители, пациентите, приемали Kaftrio с ивакафтор, имат средно увеличение на ппФЕО1 от 10,4 процентни пункта в сравнение с увеличение от 0,4 процентни пункта при пациентите, приемали комбинация от ивакафтор и тезакафтор самостоятелно.

## **Какви са рисковете, свързани с Kaftrio?**

Най-честите нежелани реакции при Kaftrio (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) са главоболие, диария и инфекции на горните дихателни пътища (инфекции на носа и гърлото). Могат да се появят обриви, които понякога да са сериозни.

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

## **Защо Kaftrio е разрешен за употреба в ЕС?**

Kaftrio е ефективно лечение на пациенти с кистозна фиброза, които имат две мутации *F508del* или една мутация *F508del* и една мутация MF. И двете групи имат силно неудовлетворени медицински потребности. Пациентите с една мутация *F508del* плюс други мутации не са обхванати в проучванията и въпреки че фирмата е предоставила някои данни за употреба при такива пациенти, се счита за необходимо предоставянето на допълнителни данни в подкрепа на разрешаването за употреба при тези групи. По отношение на безопасността, Kaftrio се понася добре. Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Kaftrio 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 Kaftrio?**

Фирмата, която предлага Kaftrio, ще проведе проучване за дългосрочната безопасност на Kaftrio, включително при бременни жени.

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

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

## **Допълнителна информация за Kaftrio:**

Допълнителна информация за Kaftrio можете да намерите на уебсайта на Агенцията:  
<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/kaftrio>.