



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/438448/2020
EMA/H/C/005269

Kaftrio (ivakaftor/tezakaftor/eleksakaftor)

Pregled informacija o lijeku Kaftrio i zašto je odobren u EU-u

Što je Kaftrio i za što se koristi?

Kaftrio je lijek koji se koristi za liječenje bolesnika u dobi od 12 i više godina koji imaju cističnu fibrozu, nasljednu bolest koja ima ozbiljne učinke na pluća, probavni sustav i druge organe.

Uzročnici cistične fibroze mogu biti različite mutacije (promjene) gena za bjelančevinu koja se naziva „transmembranski regulator provodljivosti za ione klora kod cistične fibroze“ (engl. *cystic fibrosis transmembrane conductance regulator* – CFTR). Ljudi imaju dvije kopije toga gena, po jednu naslijeđenu od svakog roditelja, a bolest nastupa samo ako postoji mutacija na obje kopije.

Kaftrio se daje bolesnicima čija je cistična fibroza posljedice mutacije *F508del* naslijeđene od jednog ili oba roditelja. Ako su mutaciju naslijedili samo od jednog roditelja, trebaju imati i drugu mutaciju koja se naziva „mutacija minimalne funkcije“ naslijeđenu od drugog roditelja.

Cistična fibroza rijetka je bolest, a lijek Kaftrio dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 14. prosinca 2018. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3182117>.

Kaftrio sadrži djelatne tvari ivakaftor, tezakaftor i eleksakaftor.

Kako se Kaftrio primjenjuje?

Lijek se izdaje samo na recept. Lijek Kaftrio može propisati samo liječnik s iskustvom u liječenju cistične fibroze.

Lijek Kaftrio dostupan je u obliku tableta. Svaka tableta sadrži 75 mg ivakaftora, 50 mg tezakaftora i 100 mg eleksakaftora. Lijek Kaftrio treba uzimati zajedno s drugim lijekom koji sadrži samo ivakaftor. Preporučena dnevna doza su dvije tablete lijeka Kaftrio ujutro s hranom koja sadrži masti i jedna tableta ivakaftora (150 mg) navečer, otprilike 12 sati nakon prve tablete.

Doze lijeka Kaftrio i ivakaftora možda će biti potrebno prilagoditi ako bolesnik uzima i lijek koji je „umjereni ili jak inhibitor CYP3A“, kao što su određeni antibiotici ili lijekovi protiv gljivičnih infekcija. Liječnik će možda trebati prilagoditi dozu u bolesnika s oštećenom jetrenom funkcijom.

Za više informacija o primjeni lijeka Kaftrio pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

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



Kako djeluje Kaftrio?

Cističnu fibrozu uzrokuju mutacije gena za CFTR. Taj gen omogućuje proizvodnju bjelančevine CFTR, koja djeluje na površini stanica i regulira stvaranje sluzi u plućima i probavnih sokova u crijevima. Uslijed mutacija smanjuje se broj bjelančevina CFTR na površini stanica ili ometa način na koji bjelančevina djeluje, zbog čega su izlučevine stanica koje stvaraju sluz i probavne tekućine preguste pa dolazi do začepljenja, upale, povećanog rizika od infekcija pluća, loše probave i slabog rasta.

Dvije djelatne tvari lijeka Kaftrio, eleksakaftor i tezakaftor, povećavaju broj bjelančevina CFTR na površini stanica, dok treća, ivakaftor, poboljšava djelovanje oštećene bjelančevine CFTR. Tim zajedničkim djelovanjem razrjeđuju se sluz i probavni sokovi, što pomaže pri ublažavanju simptoma bolesti.

Koje su koristi od lijeka Kaftrio **utvrđene** u ispitivanjima?

Lijek Kaftrio u kombinaciji s ivakaftorom bio je učinkovit u poboljšavanju funkcije pluća u dvama glavnim ispitivanjima u koja su bili uključeni bolesnici s cističnom fibrozom u dobi od 12 i više godina. Glavno mjerilo učinkovitosti bio je ppFEV1, tj. najveća količina zraka koju osoba može izdahnuti u sekundi, u usporedbi s vrijednostima zabilježenima u prosječne osobe sličnih osobina (kao što su dob, visina i spol). U tim ispitivanjima bolesnici su započeli s vrijednostima na razini od 60 do 62 % vrijednosti zabilježenih u prosječne zdrave osobe.

U prvo ispitivanje bila su uključena 403 bolesnika s mutacijama *F508del* i MF. Nakon 24 tjedna liječenja bolesnici koji su uzimali lijekove Kaftrio i ivakaftor imali su prosječno povećanje vrijednosti ppFEV1 od 13,9 postotnih bodova u usporedbi sa smanjenjem od 0,4 postotna boda u bolesnika koji su uzimali placebo (prividno liječenje).

U drugom ispitivanju, u koje je bilo uključeno 107 bolesnika s mutacijom *F508del* naslijeđenom od oba roditelja, bolesnici koji su uzimali lijek Kaftrio s ivakaftorom imali su prosječno povećanje vrijednosti ppFEV1 od 10,4 postotna boda, u odnosu na povećanje od 0,4 postotna boda u bolesnika koji su uzimali samo kombinaciju ivakaftora i tezakaftora.

Koji su rizici povezani s lijekom Kaftrio?

Najčešće nuspojave lijeka Kaftrio (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) jesu glavobolja, proljev i infekcija gornjeg dijela dišnog sustava (infekcija nosa i grla). Mogu se pojaviti i osipi koji su ponekad ozbiljni.

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s primjenom lijeka Kaftrio potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Kaftrio odobren u EU-u?

Kaftrio je učinkovita terapija za bolesnike s cističnom fibrozom koji imaju dvije mutacije *F508del* ili jednu mutaciju *F508del* i jednu mutaciju MF. Za obje skupine postoji izrazita nezadovoljena medicinska potreba. Bolesnici s jednom mutacijom *F508del* i drugim mutacijama nisu bili uključeni u ispitivanja. Iako je tvrtka dostavila neke podatke o primjeni lijeka u takvih bolesnika, smatralo se da su potrebni dodatni podatci kako bi se potkrijepilo odobrenje za primjenu u tim skupinama. U pogledu sigurnosti primjene, Kaftrio se dobro podnosi. Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Kaftrio nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i **učinkovita** primjena lijeka Kaftrio?

Tvrtka koja stavlja lijek Kaftrio u promet provest će ispitivanje o dugoročnoj sigurnosti primjene lijeka Kaftrio, među ostalim i u trudnica.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Kaftrio također se nalaze u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Kaftrio kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Kaftrio pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Kaftrio

Više informacija o lijeku Kaftrio dostupno je na internetskim stranicama Agencije:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/kaftrio>.