



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/761233/2021  
EMA/H/C/005269

## Kaftrio (ivakaftor / teżakaftor / elessakaftor)

Ħarsa ġenerali lejn Kaftrio u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

### X'inhu Kaftrio u **għal** xiex **jintuża**?

Kaftrio huwa medċina li tintuża biex tikkura pazjenti minn 6 snin 'il fuq li jkollhom fibrozi ċistika, marda ereditarja li għandha effetti severi fuq il-pulmun, is-sistema diġestiva u organi oħrajn.

Il-fibrozi ċistika tista' tiġi kkawżata minn diversi mutazzjonijiet (bidliet) fil-ġene għal proteina msejha "regolatur tal-konduttanza transmembrana tal-fibrozi ċistika" (CFTR). In-nies għandhom żewġ kopji ta' dan il-ġene, waħda li tintiret minn kull ġenitur u l-marda sseħħ biss meta jkun hemm mutazzjoni fiż-żewġ kopji.

Kaftrio jintuża flimkien ma' ivakaftor f'pazjenti li l-fibrozi ċistika tagħhom hija kkawżata minħabba tal-inqas mutazzjoni *F508del* waħda fil-ġene *CFTR*.

Il-fibrozi ċistika hija rari, u Kaftrio ġie denominat bħala "medċina orfni" (medċina li tintuża f'mard rari) fl-14 ta' Diċembru 2018. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab hawn:

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

Kaftrio fih is-sustanzi attivi ivakaftor, teżakaftor u elessakaftor.

### Kif **jintuża** Kaftrio?

Il-medċina tista' tinkiseb biss b'*ricetta* ta' tabib. Kaftrio għandu jiġi preskritt biss minn professjonist fil-qasam tal-kura tas-saħħa b'esperjenza fil-kura tal-fibrozi ċistika.

Kaftrio jiġi bħala pilloli, li jiġu f'żewġ qawwiet differenti. Għal pazjenti ta' 12-il sena jew aktar, jew li jiżnu mill-inqas 30 kg kull pillola fiha 75 mg ivakaftor, 50 mg teżakaftor u 100 mg elessakaftor. Għal pazjenti ta' età jew piż iżgħar, kull pillola fiha 37.5 mg ivakaftor, 25 mg teżakaftor u 50 mg elessakaftor. Kaftrio għandu jittiehed flimkien ma' medċina oħra li jkun fiha ivakaftor biss. Id-doża rakkomandata ta' kuljum hija ta' żewġ pilloli ta' Kaftrio tal-qawwa xierqa filgħodu mal-ikel li fih ix-xaħam u pillola waħda ta' ivakaftor (150 mg f'dawk fuq id-doża oġġla ta' Kaftrio, 75 mg f'dawk fuq id-doża aktar baxxa) filgħaxija, madwar 12-il siegħa wara.

Id-doži ta' Kaftrio u ivakaftor jistgħu jkunu jeħtieġu li jitnaqqsu jekk il-pazjent ikun qiegħed jieħu wkoll tip ta' medċina msejha "inibitur ta' CYP3A moderat jew qawwi", bħal ċerti antibijotiċi jew medċini għal

---

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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

Send us a question Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) Telephone +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



infezzjonijiet fungali, peress li dawn jistgħu jaffettwaw il-mod kif Kaftrio u ivakaftor jaħdmu fil-ġisem. It-tabib jista' jkollu bżonn jaġġusta d-doża f'pazjenti b'funzjoni tal-fwied imnaqqa.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Kaftrio, ara l-fuljett ta' taġħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

## Kif jaħdem Kaftrio?

Il-fibrozi ċistika tiġi kkawżata minn mutazzjonijiet fil-ġene *CFTR*. Dan il-ġene jwassal għall-produzzjoni tal-proteina CFTR, li taħdem fuq il-wiċċ taċ-ċelloli biex tirregola l-produzzjoni tal-mukus fil-pulmun u fil-likwidi diġestivi fl-imsaren. Il-mutazzjonijiet inaqqsu n-numru ta' proteini CFTR fuq il-wiċċ iċ-ċelloli jew jaffettwaw il-mod kif taħdem il-proteina, li dan iwassal biex il-mukus u l-fluwidi diġestivi jkunu wisq magħquda, li jwassal għal imblokk, infjammazzjoni, riskju akbar ta' infezzjonijiet fil-pulmun, u diġestjoni u tkabbir hżiena.

Tnejn mis-sustanzi attivi f'Kaftrio, elessakaftor u teżakaftor, iżidu n-numru ta' proteini CFTR fuq il-wiċċ taċ-ċelloli, filwaqt li l-oħra, ivakaftor, ittejjeb l-attività tal-proteina CFTR difettuża. Dawn l-azzjonijiet flimkien jagħmlu l-mukus tal-pulmun u l-likwidi diġestivi inqas magħquda, b'hekk jgħinu biex itaffu s-sintomi tal-marda.

## X'inhuma l-benefiċċji ta' Kaftrio li hargu mill-istudji?

Kaftrio meħud flimkien ma' ivakaftor intwera li huwa effettiv biex ittejjeb il-funzjoni tal-pulmun fit-tliet studji ewlenin f'pazjenti bil-fibrozi ċistika li għandhom 12-il sena u aktar. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien ppFEV1, li huwa l-ammont massimu ta' arja li persuna tista' toħroġ man-nifs f'sekonda meta mqabbla ma' valuri minn persuna medja b'karatteristiċi simili (bħall-età, it-tul u s-sess). F'dawn l-istudji, il-pazjenti bdew (linja bażi) b'valuri medji ta' ppFEV1 li kienu biss 60 sa 68 % tal-valuri osservati f'persuna b'saħħitha medja.

L-ewwel studju involva 403 pazjenti b'mutazzjoni *F508del* u tip ieħor ta' mutazzjoni magħrufa bħala mutazzjoni b'funzjoni minima". Wara 24 ġimgħa ta' kura, il-pazjenti li ħadu Kaftrio u ivakaftor kellhom żieda medja fil-ppFEV1 ta' 13.9 punti perċentwali meta mqabbla ma' tnaqqis ta' 0.4 punti perċentwali f'pazjenti li ħadu l-plaċebo (kura finta).

Fit-tieni studju li kien jinvolvi 107 pazjenti b'mutazzjoni *F508del* miż-żewġ ġenituri, il-pazjenti li ħadu Kaftrio ma' ivakaftor kellhom żieda medja fil-ppFEV1 ta' 10.4 punti perċentwali meta mqabbla ma' żieda ta' 0.4 punti perċentwali f'pazjenti li ħadu kombinazzjoni ta' ivakaftor u teżakaftor waħedhom.

It-tielet studju involva 258 pazjent b'mutazzjoni *F508del* flimkien ma' jew mutazzjoni gating jew residwa tal-attività CFTR (żewġ tipi oħra ta' mutazzjonijiet). Il-pazjenti li ħadu Kaftrio u ivakaftor kellhom żieda medja fil-ppFEV1 ta' 3.7 punti perċentwali meta mqabbla ma' żieda ta' 0.2 punti perċentwali f'pazjenti li ħadu ivakaftor waħdu jew kombinazzjoni ta' ivakaftor u teżakaftor.

Il-kura b'Kaftrio għal 24 ġimgħa ntweriet ukoll li tipproduċi żieda medja fil-ppFEV1 ta' 10.2 punti perċentwali fir-raba' studju li involva 66 pazjent li għandhom bejn 6 snin u inqas minn 12-il sena; dawn il-pazjenti kellhom mutazzjoni *F508del* miż-żewġ ġenituri jew mutazzjoni *F508del* u mutazzjoni ta' "funzjoni minima". Il-kumpanija pprovdiet ukoll evidenza biex tappoġġa l-użu ta' doži aktar baxxi f'dan il-grupp, li wriet li l-medicina kienet distribwita fil-ġisem b'mod simili bħal fi tfal akbar fl-età u fl-adulti.

## X'inhuma r-riskji **assoċjati** ma' Kaftrio?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Kaftrio (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) huma wġiġh ta' ras, dijarea u infezzjoni fl-apparat respiratorju ta' fuq (infezzjoni fl-imnieher u fil-grizmejn). Jista' jkun hemm raxx u xi drabi jkun serju.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet ta' Kaftrio, ara l-fuljett ta' tagħrif.

## **Għaliex** Kaftrio **għie** awtorizzat fl-UE?

Kaftrio huwa kura effettiva għal pazjenti b'fibrozi ċistika li jkollhom mill-inqas mutazzjoni *F508del* waħda fil-gene *CFTR*. Dawn il-pazjenti għandhom htieġa medika għolja mhux issodisfata. Fir-rigward tas-sigurtà, Kaftrio kien ittollerat sew. Għaldaqstant, l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Kaftrio huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

## **X'mizuri qegħdin jittieħdu** biex **jiġi żgurat l-użu** sigur u effettiv ta' Kaftrio?

Il-kumpanija li tqiegħed Kaftrio fis-suq se twettaq studju dwar is-sigurtà fit-tul ta' Kaftrio inkluż f'nisa tqal.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Kaftrio.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Kaftrio hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrappurtati b'Kaftrio huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tiproteġi lill-pazjenti.

## Informazzjoni **oħra** dwar Kaftrio

Kaftrio rċieva awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-UE fil-21 ta' Awwissu 2020.

Aktar informazzjoni dwar Kaftrio tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'12-2021.