



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/438441/2020  
EMA/H/C/005269

## Kaftrio (ivakaftor/tezakaftor/elexakaftor)

Prehľad o lieku Kaftrio a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Kaftrio a na čo sa používa?

Liek Kaftrio sa používa na liečbu pacientov vo veku od 12 rokov s cystickou fibrózou, vrodenou chorobou, ktorá má závažný vplyv na pľúca, tráviaci systém a ďalšie orgány.

Cystickú fibrózu môžu spôsobovať rôzne mutácie (zmeny) génu pre proteín, ktorý sa nazýva transmembránový regulátor vodivosti pri cystickej fibróze (CFTR). Ľudia majú 2 kópie tohto génu, jeden zdedený od každého z rodičov a choroba sa vyskytne len v prípade mutácie v oboch kópiách.

Liek Kaftrio sa používa u pacientov, ktorých cystická fibróza je spôsobená mutáciou *F508del*, zdedenou od jedného alebo oboch rodičov. Ak túto mutáciu zdedili len od jedného z rodičov, mali by mať aj inú mutáciu nazývanú „mutácia s minimálnou funkciou“ od druhého rodiča.

Cystická fibróza je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Kaftrio dňa 14. decembra 2018 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3182117>.

Liek Kaftrio obsahuje liečivá ivakaftor, tezakaftor a elexakaftor.

### Ako sa liek Kaftrio užíva?

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis. Liek Kaftrio má predpisovať zdravotnícky pracovník so skúsenosťami s liečbou cystickej fibrózy.

Liek Kaftrio je dostupný vo forme tabliet. Každá tableta obsahuje 75 mg ivakaftoru, 50 mg tezakaftoru a 100 mg elexakaftoru. Liek Kaftrio sa má užívať spolu s ďalším liekom obsahujúcim len ivakaftor. Odporúčaná denná dávka sú dve tablety lieku Kaftrio ráno s jedlom obsahujúcim tuk a jedna tableta ivakaftoru (150 mg) večer, asi o 12 hodín neskôr.

Dávky lieku Kaftrio a ivakaftoru možno bude potrebné znížiť, ak pacient užíva aj druh lieku nazývaný stredne silný alebo silný inhibitor CYP3A, napríklad určité antibiotiká alebo lieky na mykotické infekcie. U pacientov so zníženou funkciou pečene môže byť potrebné, aby lekár dávku upravil.

Viac informácií o používaní lieku Kaftrio si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.



## Akým spôsobom liek Kaftrio **účinkuje**?

Cystická fibróza je zapríčinená mutáciami génu CFTR. Tento gén vedie k tvorbe proteínu CFTR, ktorý pôsobí na povrchu buniek tak, že reguluje tvorbu hlienu v **pľúcach** a tráviacich šťiav v **črevách**. Mutácie znižujú **počet** proteínov CFTR na povrchu buniek alebo **ovplyvňujú** spôsob, akým proteín **účinkuje**, čo vedie k sekréciám buniek, v ktorých sa vytvára hlien a tráviace tekutiny, ktoré sú príliš husté a spôsobujú **nepriechodnosť**, zápal, zvýšené riziko infekcií **pľúc** a zhoršené trávenie a rast.

Dve liečivá lieku Kaftrio, elexakaftor a tezakaftor, zvyšujú **počet** proteínov CFTR na povrchu buniek a tretie liečivo, ivakaftor, zlepšuje **činnosť** chybného proteínu CFTR. **Vďaka** týmto kombinovaným účinkom sú **pľúcny hlien** a tráviace **šťavy** redšie, čo pomáha zmierniť príznaky ochorenia.

## Aké prínosy lieku Kaftrio boli preukázané v štúdiách?

V dvoch hlavných štúdiách skúmajúcich pacientov s cystickou fibrózou vo veku od 12 rokov bol liek Kaftrio užívaný spolu s ivakaftorom **účinný** pri zlepšení funkcie **pľúc**. Hlavným meradlom **účinnosti** bola ppFEV1, čo je maximálne množstvo vzduchu, ktoré môže **človek vydýchnuť** za jednu sekundu v porovnaní s hodnotami priemerného **človeka** s podobnými charakteristikami (napríklad vekom, výškou a pohlavím). Na **začiatku** týchto štúdií mali pacienti hodnoty 60 až 62 % hodnôt od priemerného zdravého **človeka**.

Na prvej štúdii sa **zúčastnilo** 403 pacientov, ktorí majú mutáciu *F508del* a mutáciu s minimálnou funkciou (MF). Po 24 **týždňoch** liečby sa u pacientov užívajúcich liek Kaftrio a ivakaftor zvýšila hodnota ppFEV1 priemerne o 13,9 percentuálneho bodu v porovnaní so znížením o 0,4 percentuálneho bodu v prípade pacientov užívajúcich placebo (zdanlivý liek).

V druhej štúdii, na ktorej sa **zúčastnilo** 107 pacientov s mutáciou *F508del* od obidvoch **rodičov**, pacienti, ktorí užívali liek Kaftrio s ivakaftorom, dosiahli priemerné zvýšenie ppFEV1 o 10,4 percentuálneho bodu v porovnaní so zvýšením o 0,4 percentuálneho bodu u pacientov, ktorí užívali kombináciu ivakaftoru a tezakaftoru samostatne.

## Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Kaftrio?

**Najčastejšie vedľajšie účinky** lieku Kaftrio (ktoré môžu **postihnúť** viac ako 1 osobu z 10) sú **bolesť hlavy**, **hnačka** a infekcie horných dýchacích ciest (infekcie nosa a hrdla). Môže sa **vyskytnúť vyrážka**, ktorá je niekedy závažná.

Zoznam všetkých **vedľajších účinkov** pozorovaných pri používaní lieku Kaftrio a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre **používateľa**.

## **Prečo** bol liek Kaftrio povolený v EÚ?

Kaftrio je **účinný** liek pre pacientov s cystickou fibrózou, ktorí majú dve mutácie *F508del* alebo jednu mutáciu *F508del* a jednu mutáciu MF. Obidve skupiny sú skupiny s výrazne nenaplnenou potrebou liečby. Štúdie **nezahŕňali** pacientov s jednou mutáciou *F508del* spolu s inými mutáciami a hoci **spoločnosť** predložila určité údaje o použití lieku u takýchto pacientov, považovali sa za potrebné **ďalšie** údaje na podporu povolenia v týchto skupinách. **Pokiaľ** ide o **bezpečnosť**, liek Kaftrio bol dobre znášaný. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Kaftrio sú **väčšie** ako riziká spojené s jeho užívaním a že liek môže **byť** povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na **bezpečné** a **účinné** užívanie lieku Kaftrio?

Spoločnosť, ktorá liek Kaftrio uvádza na trh, uskutoční štúdiu zameranú na dlhodobú bezpečnosť lieku Kaftrio, a to aj u tehotných žien.

Na **bezpečné** a **účinné** užívanie lieku Kaftrio boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti **dodržiavať**.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o užívaní lieku Kaftrio sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Kaftrio sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie** informácie o lieku Kaftrio

Ďalšie informácie o lieku Kaftrio sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

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