



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/522792/2018
EMA/H/C/004682

Symkevi (*tezacaftor* / *ivacaftor*)

Общ преглед на Symkevi и защо е разрешен за употреба в ЕС

Какво представлява Symkevi и за какво се използва?

Symkevi е лекарство, което се използва за лечение на кистозна фиброза при пациенти на възраст 12 и повече години. Кистозната фиброза е наследствено заболяване, което се отразява сериозно върху белите дробове, храносмилателната система и други органи. Кистозната фиброза засяга клетките, които произвеждат слуз и храносмилателни сокове. В резултат на това секретите стават гъсти и причиняват запушване. Натрупването на плътни и лепкави секрети в белите дробове предизвиква възпаление и продължителна инфекция. В червата запушването на каналчетата на панкреаса забавя смилането на храната и води до забавяне на растежа.

Symkevi се използва при пациенти, които имат мутация (промяна), наречена *F508del*, в гена за протеин, наречен „трансмембранен регулатор на проводимостта при кистозна фиброза“ (CFTR).

Symkevi се използва при пациенти, които са унаследили мутацията *F508del* и от двамата си родители и следователно притежават мутацията и в двете копия на *CFTR* гена. Лекарството се използва и при пациенти, които са унаследили мутацията *F508del* от единия родител и освен това имат една от следните мутации в *CFTR*: *P67L*, *R117C*, *L206W*, *R352Q*, *A455E*, *D579G*, *711+3A→G*, *S945L*, *S977F*, *R1070W*, *D1152H*, *2789+5G→A*, *3272 26A→G* или *3849+10kbC→T*.

Symkevi съдържа активните вещества тезакафтор (*tezacaftor*) и ивакафтор (*ivacaftor*).

Кистозната фиброза се счита за рядко заболяване и Symkevi е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 27 февруари 2017 г. Допълнителна информация за „лекарства сираци“ можете да намерите тук: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare%20disease%20designation).

Как се използва Symkevi?

Symkevi трябва да се предписва само от лекар с опит в лечението на кистозна фиброза и само при пациенти, за които е установено, че имат горепосочените мутации.

Symkevi се предлага под формата на таблетки. Всяка таблетка съдържа 100 mg тезакафтор и 150 mg ивакафтор. Symkevi трябва да се приема заедно с друго лекарство, съдържащо само



ивакафтор 150 mg. Препоръчителната дневна доза е една таблетка Symkevi сутрин и една таблетка ивакафтор (150 mg) вечер, около 12 часа по-късно.

Може да се наложи дозите на Symkevi и ивакафтор да бъдат коригирани, ако пациентът приема и лекарство, наречено „умерен или силен инхибитор на CYP3A“, например определени антибиотици или лекарства за гъбични инфекции. При пациенти с намалена бъбречна функция може да се наложи коригиране на дозите.

За повече информация относно употребата на Symkevi вижте листовката или се свържете с Вашия лекар или фармацевт.

Как действа Symkevi?

Кистозната фиброза се причинява от мутации в гена *CFTR*. Този ген отговаря за CFTR протеина, който действа на повърхността на клетките, за да регулира производството на слюз и храносмилателни сокове. Мутациите понижават количеството на CFTR протеини върху повърхността на клетката или повлияват върху начина на функциониране на протеина.

Едното от активните вещества в Symkevi, тезакафтор, повишава количеството на CFTR протеините на клетъчната повърхност, а другото, ивакафтор, повишава активността на дефектния CFTR протеин. Тези действия правят слюзта и храносмилателните сокове по-малко плътни, като по този начин помагат за облекчаване на симптомите на заболяването.

Какви ползи от Symkevi са установени в проучванията?

В две основни проучвания при пациенти с кистозна фиброза на възраст от 12 години и повече е доказано, че Symkevi, приеман заедно с ивакафтор, е ефективен за подобряване на белодробната функция. Основната мярка за ефективност се основава на подобряването на FEV₁ на пациентите. FEV₁ е максималният обем въздух, който човек може да издиша за една секунда, и е мярка за това, колко добре функционират белите дробове.

В първото проучване са участвали 510 пациенти с муковисцидоза, които са унаследили мутацията *F508del* от двамата родители. Symkevi, приеман с ивакафтор, е сравнен с плацебо (сляпо лечение). След 24-седмично лечение пациентите, приемали лекарствата, имат средно повишение на FEV₁ с 3,4 процентни пункта в сравнение с намаление с 0,6 процентни пункта при пациентите, приемащи плацебо.

Второто проучване включва 248 пациенти с кистозна фиброза, които са наследили мутацията *F508del* от един родител и които имат и друга *CFTR* мутация. Symkevi, приеман с ивакафтор, е сравнен с ивакафтор, приеман самостоятелно и с плацебо. Функцията на белия дроб е измерена след 4 седмици и 8 седмици лечение. Пациентите, приемали Symkevi и ивакафтор, имат средно повишение на FEV₁ от 6,5 процентни пункта в сравнение с повишение от 4,4 процентни пункта при пациентите, приемали само ивакафтор, и намаление с 0,3 процентни пункта при пациентите, приемали плацебо.

Какви са рисковете, свързани с Symkevi?

Най-честите нежелани реакции при Symkevi (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) са главоболие и назофарингит (възпаление на носа и гърлото).

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията, съобщени при Symkevi, вижте листовката.

Защо Symkevi е разрешен за употреба в ЕС?

Symkevi е ефективно лечение за пациенти с кистозна фиброза, които са наследили мутацията *F508del* и от двамата родители, или за пациенти, които имат мутацията *F508del* от един родител и определени други мутации. За първата група Symkevi може да бъде по-специално възможност за лечение за пациентите, които не могат да приемат комбинация от ивакафтор и лумакафтор (друго лекарство за кистозна фиброза) поради нежелани реакции или взаимодействия с други лекарства, които приемат. За последната група липсват одобрени лечения. Затова Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Symkevi 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 Symkevi?

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

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

Допълнителна информация за Symkevi:

Допълнителна информация за Symkevi можете да намерите на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).