



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/543681/2020
EMA/H/C/004682

Symkevi (*tezakaftoras / ivakaftoras*)

Symkevi apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Symkevi ir kam jis vartojamas?

Symkevi – tai vaistas, kuriuo gydomi 6 metų ir vyresni pacientai, sergantys cistine fibroze. Cistinė fibrozė yra paveldima liga, kuri smarkiai pažeidžia plaučius, virškinimo sistemą ir kitus organus. Cistinė fibrozė pažeidžia ląsteles, gaminančias gleives ir virškinimo sultis. Dėl to liaukų išskiriamas sekretas sutirštėja ir užkemša organus. Plaučiuose susikaupęs tirštas ir lipnus sekretas sukelia uždegimą ir ilgalaikę infekciją. Virškinimo trakte, užsikimšus kasos latakams, sulėtėja maisto virškinimas ir sutrinka žmogaus augimas.

Symkevi skiriamas pacientams, kuriems nustatyta baltymo, vadinamo cistinės fibrozės transmembraninio laidumo reguliatoriumi (*CFTR*), geno mutacija (pakitimas) *F508del*.

Symkevi skiriamas pacientams, kurie paveldėjo *F508del* mutaciją iš abiejų tėvų, todėl turi tokią mutaciją abiejose *CFTR* geno kopijose. Šis vaistas taip pat skiriamas pacientams, kurie paveldėjo *F508del* mutaciją iš vieno iš tėvų ir taip pat turi vieną iš šių *CFTR* mutacijų: *P67L*, *R117C*, *L206W*, *R352Q*, *A455E*, *D579G*, *711+3A→G*, *S945L*, *S977F*, *R1070W*, *D1152H*, *2789+5G→A*, *3272 26A→G*, arba *3849+10kbC→T*.

Symkevi sudėtyje yra veikliųjų medžiagų tezakaftoro ir ivakaftoro.

Cistinė fibrozė laikoma reta liga, todėl 2017 m. vasario 27 d. Symkevi buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3171828.

Kaip vartoti Symkevi?

Symkevi gali skirti tik cistinės fibrozės gydymo patirties turintis gydytojas ir šį vaistą galima skirti tik tiems pacientams, kuriems patvirtinta kuri nors iš pirmiau minėtų mutacijų.

Symkevi tiekiamas tablečių forma. Gydant kartu skiriama ivakaftoro tabletė.

Symkevi vartojama iš ryto, o ivakaftoras – vakare, praėjus maždaug 12 valandų. Vaisto dozė nustatoma pagal paciento svorį ir ūgį.

Symkevi ir ivakaftoro dozės gali tekti pakoreguoti, jeigu pacientas taip pat vartoja vaistą, vadinamą vidutinio stiprumo arba stipriu CYP3A inhibitoriumi, pvz., tam tikrus antibiotikus arba vaistus nuo grybelinių infekcijų. Vaisto dozės taip pat gali tekti pakoreguoti pacientams, kurių kepenų funkcija sutrikusi.

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



Daugiau informacijos apie Symkevi vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Symkevi?

Cistinę fibrozę sukelia *CFTR* geno mutacijos. Šis genas gamina baltymą *CFTR*, kuris ląstelių paviršiuje reguliuoja gleivių ir virškinimo sulčių gamybą. Esant šioms mutacijoms, ląstelių paviršiuje sumažėja baltymo *CFTR* kiekis arba sutrinka šio baltymo veikimas.

Viena iš Symkevi veikliųjų medžiagų, tezakaftoras, didina *CFTR* baltymų kiekį ląstelių paviršiuje, o kita veiklioji medžiaga, ivakaftoras, – didina pakitusio baltymo *CFTR* aktyvumą. Dėl tokio bendro šių medžiagų poveikio *CFTR* baltymo funkcija atstatoma ir gleivės ir virškinimo sultys pasidaro ne tokios tirštos, todėl ligos simptomai palengvėja.

Kokia Symkevi nauda nustatyta tyrimų metu?

Atlikus du pagrindinius tyrimus su 6 metų ir vyresniais cistine fibroze sergančiais pacientais, nustatyta, kad kartu su ivakaftoru vartojamas Symkevi sustiprina plaučių funkciją.

Pirmuose 2 tyrimuose pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo paciento FEV₁ padidėjimas. FEV₁ yra didžiausias oro kiekis, kurį asmuo gali iškvėpti per vieną sekundę, ir pagal jį vertinama plaučių funkcija.

Pirmame tyrime dalyvavo 510 cistine fibroze sergančių pacientų, kurie mutaciją *F508del* paveldėjo iš abiejų tėvų. Kartu su ivakaftoru vartojamas Symkevi buvo lyginamas su placebo (netikru vaistu). Po 24 gydymo savaitių vaistus vartojusių pacientų FEV₁ buvo padidėjęs vidutiniškai 3,4 procentinio punkto, o vartojusiųjų placebo – sumažėjęs 0,6 procentinio punkto.

Antrame tyrime dalyvavo 248 cistine fibroze sergantys pacientai, kurie mutaciją *F508del* paveldėjo iš vieno iš tėvų ir taip pat turėjo kitą *CFTR* mutaciją. Kartu su ivakaftoru vartojamas Symkevi buvo lyginamas su vienu ivakaftoru ir su placebo. Plaučių funkcija buvo vertinama po 4 ir 8 gydymo savaitių. Symkevi ir ivakaftorą vartojusių pacientų FEV₁ padidėjo vidutiniškai 6,5 procentinio punkto, vartojusiųjų vieną ivakaftorą – 4,4 procentinio punkto, o vartojusiųjų placebo – sumažėjo 0,3 procentinio punkto.

Symkevi veiksmingumas panašios grupės 6–11 metų amžiaus cistine fibroze sergantiems vaikams patvirtintas tyrime su 54 6–11 metų vaikais. Šiame tyrime buvo vertinamas Symkevi poveikis plaučių klirenso indeksui (LCI_{2,5}), rodančiam, ar oro apykaita plaučiuose gerai veikia. Sumažėjęs LCI_{2,5} rodo pagerėjimą. Tyrimo pradžioje pacientų LCI_{2,5} buvo vidutiniškai 9,56. Po 8 gydymo Symkevi ir ivakaftoru savaitių, LCI_{2,5} sumažėjo 0,51. Symkevi veiksmingumas 6–11 metų vaikams taip pat paremtas duomenimis, patvirtinančiais, kad jų organizme šis vaistas veikia taip pat kaip ir vyresnių pacientų organizme. Tačiau dozę reikia koreguoti atsižvelgiant į paciento svorį ir amžių.

Kokia rizika susijusi su Symkevi vartojimu?

Dažniausias Symkevi šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra galvos skausmas ir nazofaringitas (nosies ir gerklės uždegimas).

Išsamų visų šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų vartojant Symkevi sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Symkevi buvo registruotas ES?

Symkevi yra veiksmingas cistine fibroze sergantiems pacientams, kurie turi iš abiejų tėvų paveldėtą mutaciją *F508del* arba turi iš vieno iš tėvų paveldėtą mutaciją *F508del* ir tam tikrų kitų mutacijų. Pirmoje iš minėtų pacientų grupių Symkevi galėtų būti vienas iš galimų vaistų tiems pacientams, kurie dėl šalutinio poveikio arba sąveikos su kitais vartojamais vaistais negali vartoti ivakaftoro ir lumakaftoro (kito vaisto nuo cistinės fibrozės) derinio. Antros grupės pacientams tinkamų vaistų nėra įregistruota. Apie Symkevi saugumą manoma, kad šio vaisto šalutinis poveikis yra priimtinas. Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Symkevi nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Symkevi vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Symkevi vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Symkevi vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Symkevi šalutinis poveikis kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Symkevi

Symkevi įregistruotas visoje ES 2018 m. spalio 31 d.

Daugiau informacijos apie Symkevi galima rasti Agentūros tinklalapyje adresu:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/symkevi.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2020-10.