



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Symkevi (*tezacaftor / ivacaftor*)

Ħarsa ġenerali lejn Symkevi u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

### X'inhu Symkevi u għal xiex jintuża?

Symkevi huwa mediċina li tintuża biex tikkura fibrozi ċistika f'pazjenti li għandhom 12-il sena u aktar. Il-fibrozi ċistika hija marda ereditarja li għandha effetti severi fuq il-pulmuni, fuq is-sistema diġestiva u fuq organi oħrajn. Il-fibrozi ċistika taffettwa ċ-ċelloli li jipproduċu l-mukus u l-likwidi diġestivi. Bħala riżultat ta' dan, dawn is-sekrezzjonijiet jagħqudu u jikkawżaw imblokk. L-akkumulazzjoni ta' sekrezzjonijiet magħquda u li jwaħħal fil-pulmun tikkawża infjammazzjoni u infezzjoni fit-tul. Fil-musrana, l-imblokk tat-tubi mill-frixa jwassal għal dewmien fid-diġestjoni tal-ikel u jikkawża żvilupp ħażin.

Symkevi jintuża f'pazjenti li għandhom mutazzjoni (bidla) imsejġha *F508del* fil-gene għal proteina msejġha "regolatur tal-konduttanza transmembranja tal-fibrozi ċistika" (CFTR).

Symkevi jintuża f'pazjenti li wirtu l-mutazzjoni *F508del* miż-żewġ ġenituri u għalhekk għandhom il-mutazzjoni fiż-żewġ kopji tal-gene *CFTR*. Dan jintuża wkoll f'pazjenti li wirtu l-mutazzjoni *F508del* minn ġenitur wieħed u li għandhom ukoll waħda mill-mutazzjonijiet li ġejjin fis-*CFTR*: *P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272 26A→G, or 3849+10kbC→T*.

Symkevi fih is-sustanzi attivi tezacaftor u ivacaftor.

Il-fibrozi ċistika hija rari, u Symkevi ġie denominat bħala 'mediċina orfni' (mediċina li tintuża f'mard rari) fis-27 ta' Frar 2017. Aktar informazzjoni fuq id-denominazzjoni orfni tista' tinstab hawn:

[ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

### Kif jintuża Symkevi?

Symkevi għandu jingħata b'riċetta biss minn tobba li jkollhom esperjenza fil-kura tal-fibrozi ċistika, u biss fil-pazjenti li ġew ikkonfermati li għandhom il-mutazzjonijiet imsemmija hawn fuq.

Symkevi jiġi bħala pilloli. Kull pillola fiha 100 mg tezacaftor u 150 mg ivacaftor. Symkevi għandu jittiehed flimkien ma' mediċina oħra li fiha 150 mg ivacaftor biss. Id-doża rakkomandata ta' kuljum hija pillola waħda ta' Symkevi filgħodu u pillola waħda ta' ivacaftor (150 mg) filgħaxija, madwar 12-il siegħa wara.

---

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



Id-doži ta' Symkevi u ivacaftor jistgħu jkunu jeħtieġu li jiġu aġġustati jekk il-pazjent ikun qiegħed jiehū wkoll tip ta' mediċina msejħa "inibitur ta' CYP3A moderat jew qawwi", bħal ċerti antibiotiċi jew mediċini għal infezzjonijiet fungali. Id-doži jista' jkollhom bżonn ukoll jiġu aġġustati f'pazjenti b'funzjoni tal-fwied imnaqqsa.

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

## **Kif jaħdem Symkevi?**

Il-fibrozi ċistika hija kkawżata minn mutazzjonijiet fil-ġene *CFTR*. Dan il-ġene jipproduċi l-proteina CFTR, li taħdem fuq il-wiċċ taċ-ċelloli biex tirregola l-produzzjoni tal-mukus u l-likwidi diġestivi. Il-mutazzjonijiet inaqqsu n-numru tal-proteini CFTR fuq il-wiċċ taċ-ċellola jew jaffettwaw il-mod kif taħdem il-proteina.

Waħda mis-sustanzi attivi f'Symkevi, tezacaftor, iżżid in-numru ta' proteini CFTR fuq il-wiċċ taċ-ċellola u l-oħra, ivacaftor, iżżid l-attività tal-proteina CFTR difettuża. Dawn l-azzjonijiet jagħmlu l-mukus u l-likwidi diġestivi inqas magħquda, b'hekk jgħinu biex itaffu s-sintomi tal-marda.

## **X'inhuma l-benefiċċji ta' Symkevi li ħarġu mill-istudji?**

Symkevi meħud flimkien ma' ivacaftor intwera li huwa effettiv biex itejjeb il-funzjoni tal-pulmun f'żewġ studji ewlenin ta' pazjenti bil-fibrozi ċistika li għandhom 12-il sena u aktar. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien ibbażat fuq it-titjib fil- $FEV_1$  tal-pazjenti.  $FEV_1$  huwa l-ammont massimu ta' arja li persuna tista' toħroġ man-nifs f'sekonda, u huwa kejl ta' kemm jaħdem tajjeb il-pulmun.

L-ewwel studju involva 510 pazjenti bil-fibrozi ċistika li wirtu l-mutazzjoni *F508del* miż-żewġ ġenituri. Symkevi, meħud ma' ivacaftor, tqabbel ma' placebo (kura finta). Wara 24 ġimgħa ta' kura, il-pazjenti li ħadu l-mediċini kellhom żieda medja fil- $FEV_1$  ta' 3.4 punti perċentwali meta mqabbel ma' tnaqqis ta' 0.6 punti perċentwali f'pazjenti li ħadu l-placebo.

It-tieni studju involva 248 pazjent bil-fibrozi ċistika li wirtu l-mutazzjoni *F508del* minn ġenitur wieħed u li għandhom ukoll mutazzjoni *CFTR* oħra. Symkevi, meħud ma' ivacaftor, tqabbel ma' ivacaftor meħud waħdu u mal-placebo. Il-funzjoni tal-pulmun tkejjlet wara 4 ġimgħat u 8 ġimgħat ta' kura. Il-pazjenti li ħadu Symkevi u ivacaftor kellhom żieda medja fil- $FEV_1$  ta' 6.5 punti perċentwali meta mqabbel ma' żieda ta' 4.4 punti perċentwali f'pazjenti li ħadu ivacaftor waħdu u tnaqqis ta' 0.3 punti perċentwali f'pazjenti li ħadu l-placebo.

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

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Symkevi (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) huma uġiġħ ta' ras u nażofaringite (infjammazzjoni tal-immieħer u tal-grizmejn).

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

## **Għaliex Symkevi ġie awtorizzat fl-UE?**

Symkevi huwa kura effettiva għal pazjenti bil-fibrozi ċistika li wirtu l-mutazzjoni *F508del* miż-żewġ ġenituri jew pazjenti li għandhom il-mutazzjoni *F508del* minn ġenitur wieħed u ċerti mutazzjonijiet oħra. Fl-ewwel grupp, Symkevi jista' jkun speċjalment għažla ta' kura għal dawk li ma jistgħux jieħdu kombinazzjoni ta' ivacaftor u lumacaftor (mediċina oħra għall-fibrozi ċistika), minħabba effetti sekondarji jew interazzjonijiet ma' mediċini oħra li jkunu qegħdin jieħdu. Fil-grupp tal-aħħar, hemm nuqqas ta'

terapiji awtorizzati. Għaldaqstant, l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddecidiet li l-benefiċċji ta' Symkevi huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

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

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-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' Symkevi.

Bħal għall-mediċini kollha, id-data dwar l-użu ta' Symkevi hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrapportati b'Symkevi huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tippoteġi lill-pazjenti.

## **Informazzjoni oħra dwar Symkevi**

Aktar informazzjoni fuq Symkevi tinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).