



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/198531/2025
EMA/H/C/006382

Alyftrek (*deutivacaftor/tezacaftor/vanzacaftor*)

Información general sobre Alyftrek y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Alyftrek y para qué se utiliza?

Alyftrek es un medicamento que se utiliza en adultos a partir de los 6 años para tratar la fibrosis quística, una enfermedad hereditaria que afecta gravemente a los pulmones, el sistema digestivo y otros órganos.

La fibrosis quística puede estar causada por diversas mutaciones (cambios) en el gen que contiene instrucciones para fabricar una proteína denominada «regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística» (CFTR, por sus siglas en inglés).

Las mutaciones en el gen *CFTR* se agrupan en cinco clases diferentes (clase I a clase V) en función de los problemas que causan con la producción de la proteína CFTR. Alyftrek se utiliza en personas cuya fibrosis quística está causada por al menos una mutación que no es una mutación de clase I. Las mutaciones de clase I son mutaciones que dan lugar a que no se produzca ninguna proteína CFTR.

La fibrosis quística es una enfermedad «rara», y Alyftrek fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 12 de noviembre de 2021. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en la [página web](#) de la EMA.

Alyftrek contiene los principios activos deutivacaftor, tezacaftor y vanzacaftor.

¿Cómo se usa Alyftrek?

Alyftrek solo se podrá dispensar con receta médica. Solo deben prescribirlo profesionales sanitarios con experiencia en el tratamiento de la fibrosis quística.

Alyftrek se presenta en comprimidos que se toman por vía oral una vez al día con alimentos que contienen grasa. La dosis se calcula en función del peso del paciente. Puede ser necesario reducir la dosis de Alyftrek si el paciente también está tomando un tipo de medicamento denominado «inhibidor moderado o potente de CYP3A», como determinados antibióticos o medicamentos para infecciones fúngicas, ya que pueden afectar a la forma en que Alyftrek actúa en el organismo.

Si desea más información sobre el uso de Alyftrek, lea el prospecto o consulte a un profesional sanitario.

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



¿Cómo actúa Alyftrek?

La fibrosis quística está causada por mutaciones en el gen CFTR. Este gen permite que se fabrique la proteína CFTR, que actúa sobre la superficie de las células para regular la producción de secreciones mucosas en los pulmones y jugos digestivos en el intestino. Las mutaciones reducen el número de proteínas CFTR en la superficie celular o afectan al funcionamiento de la proteína, dando lugar a que la mucosidad y los fluidos digestivos sean demasiado espesos, lo que provoca obstrucciones, inflamación, aumento del riesgo de infecciones pulmonares, y digestión y crecimiento deficientes.

Dos de los principios activos de Alyftrek, el vanzacaftor y el tezacaftor, aumentan el número de proteínas CFTR en la superficie celular, mientras que el otro, el deutivacaftor, mejora la actividad de la proteína CFTR defectuosa. Estas acciones se combinan para que el moco pulmonar y los jugos digestivos sean menos espesos, lo que ayuda a aliviar los síntomas de la enfermedad.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Alyftrek en los estudios realizados?

Alyftrek fue tan eficaz como otro medicamento, Kaftrio, para mejorar la función pulmonar en dos estudios principales realizados en personas mayores de 12 años con fibrosis quística. Kaftrio, que contiene ivacaftor, tezacaftor y elexacaftor, se administra siempre junto con un medicamento que contiene ivacaftor solo. Kaftrio se utiliza en personas con fibrosis quística causada por al menos una mutación que no es una mutación de clase I en el gen *CFTR*.

En ambos estudios, los participantes mayores de 12 años recibieron tratamiento con Kaftrio durante cuatro semanas y, a continuación, se les administró Alyftrek o continuaron el tratamiento con Kaftrio. El criterio principal de valoración de la eficacia en ambos estudios fue la variación del ppFEV1, que es la cantidad máxima de aire que una persona puede espirar en un segundo, en comparación con los valores de una persona media con características similares (como edad, altura y sexo). Un ppVEF1 normal suele estar cerca de 100 puntos porcentuales cuando los pulmones funcionan correctamente.

En el primer estudio participaron 405 personas con una mutación *F508del* y una mutación de «función mínima». Las mutaciones funcionales mínimas producen (casi) ninguna proteína CFTR o una proteína CFTR defectuosa que no responde a los moduladores CFTR. Tras las primeras 4 semanas de tratamiento con Kaftrio, los pacientes del estudio presentaron un promedio del ppVEF1 de 67,1 puntos porcentuales. Tras 24 semanas de tratamiento, el ppFEV1 se mantuvo tanto en los participantes a los que se administró Alyftrek como en los que recibieron Kaftrio.

En el segundo estudio participaron 573 participantes con y sin una mutación *F508del*. Los pacientes sin una mutación *F508del* presentaban al menos una mutación que respondía al tratamiento con Kaftrio. Tras las primeras 4 semanas de tratamiento con Kaftrio, los participantes en el estudio presentaron un promedio del ppVEF1 de 66,8 puntos porcentuales. Tras 24 semanas de tratamiento, el ppFEV1 se mantuvo tanto en los participantes a los que se administró Alyftrek como en los que recibieron Kaftrio.

La empresa también presentó datos de un estudio en el que participaron 78 niños de entre 6 y 11 años con fibrosis quística causada por al menos una mutación sensible al tratamiento con Kaftrio. En el estudio no se comparó Alyftrek con otro medicamento ni con un placebo (un tratamiento ficticio). Los datos del estudio demostraron que Alyftrek actúa de la misma forma en niños de 6 a 11 años que en niños mayores y adultos. Además, el efecto de Alyftrek sobre la función pulmonar en niños de 6 a 11 años de edad fue generalmente coherente con el observado en niños mayores y adultos en los dos estudios principales.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Alyftrek?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Alyftrek se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Alyftrek (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son dolor de cabeza y diarrea. Algunos efectos adversos pueden ser graves. El efecto adverso más frecuente de Alyftrek (puede afectar hasta a 1 de cada 100 pacientes) es el aumento de las enzimas hepáticas, que puede ser un signo de problemas hepáticos.

¿Por qué se ha autorizado Alyftrek en la UE?

Alyftrek demostró ser al menos tan eficaz como Kaftrio para el tratamiento de pacientes con fibrosis quística. El perfil de seguridad de Alyftrek es similar al de Kaftrio. No se identificaron nuevos problemas de seguridad con Alyftrek. Sin embargo, los datos sobre la seguridad a largo plazo son limitados, especialmente en el caso de los niños. La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Alyftrek eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Alyftrek?

La compañía que comercializa Alyftrek llevará a cabo un estudio basado en un registro de pacientes para proporcionar más datos sobre la seguridad y la eficacia de Alyftrek en personas con fibrosis quística causada por al menos una mutación que no es una mutación de clase I.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Alyftrek se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Alyftrek se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Alyftrek se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Alyftrek

Puede encontrar información adicional sobre Alyftrek en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/alyftrek.