



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/198533/2025
EMA/H/C/006382

Alyftrek (*deutivakaftori/tetsakaftori/vantsakaftori*)

Yleistiedot Alyftrek-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Alyftrek on ja mihin sitä käytetään?

Alyftrek on lääke, jota käytetään vähintään 6-vuotiaiden potilaiden kystisen fibroosin hoitoon. Kystinen fibroosi on perinnöllinen sairaus, jolla on vakavia vaikutuksia keuhkoihin, ruuansulatusjärjestelmään ja muihin elimiin.

Kystistä fibroosia voivat aiheuttaa monenlaiset mutaatiot (muutokset) geenissä, joka sisältää ohjeita proteiinin nimeltä kystisen fibroosin transmembraaninen konduktanssinsäätäjä (CFTR) valmistamiseksi.

CFTR-geenin mutaatiot on ryhmitelty viiteen luokkaan (I–V). Luokittelu perustuu ongelmiin CFTR-proteiinin tuotannossa. Alyftrek-valmistetta annetaan potilaille, joiden kystinen fibroosi johtuu vähintään yhdestä mutaatiosta, joka ei ole luokan I mutaatio. Luokan I mutaatiot ovat sellaisia, joiden seurauksena elimistö ei tuota CFTR-proteiinia.

Kystinen fibroosi on harvinainen sairaus, ja Alyftrek nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 12. marraskuuta 2021. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Alyftrekin vaikuttavat aineet ovat deutivakaftori, tetsakaftori ja vantsakaftori.

Miten Alyftrek-valmistetta käytetään?

Alyftrek-valmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Sitä saavat määrätä vain terveydenhuollon ammattilaiset, joilla on kokemusta kystisen fibroosin hoidosta.

Alyftrek-valmistetta on saatavana tabletteina, jotka otetaan suun kautta kerran vuorokaudessa rasvaa sisältävien elintarvikkeiden kanssa. Annos määräytyy potilaan painon mukaan. Alyftrek-annosta voi olla tarpeen pienentää, jos potilas käyttää myös lääkettä nimeltä kohtalainen tai vahva CYP3A:n estäjä. Niitä ovat esimerkiksi tietyt antibiootit tai sieni-infektiolääkkeet, koska ne voivat vaikuttaa Alyftrekin toimintaan elimistössä.

Lisätietoa Alyftrekin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

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



Miten Alyftrek vaikuttaa?

Kystinen fibroosi johtuu CFTR-geenin mutaatioista. Tämä geeni saa aikaan CFTR-proteiinin muodostumisen. CFTR-proteiini vaikuttaa solujen pinnalla säätelemällä liman muodostumista keuhkoissa ja ruoansulatusnesteiden muodostumista suolistossa. Mutaatiot vähentävät CFTR-proteiinien määrää solujen pinnalla tai vaikuttavat proteiinin toimintatapaan, jolloin lima ja ruoansulatusnesteet muuttuvat liian paksuksi. Tämä aiheuttaa tukkeumia ja tulehdusta, lisää keuhkoinfektion riskiä sekä heikentää ruoansulatusta ja hidastaa kasvua.

Alyftrekin kaksi vaikuttavaa ainetta, vantsakaftori ja tetsakaftori, lisäävät CFTR-proteiinien määrää solujen pinnalla. Kolmas vaikuttava aine deutivakaftori parantaa viallisen CFTR-proteiinin toimintaa. Nämä vaikutukset saavat yhdessä aikaan sen, että keuhkojen lima ja ruoansulatusnesteet ohenevat, mikä auttaa lievittämään sairauden oireita.

Mitä hyötyä Alyftrek-valmisteesta on havaittu tutkimuksissa?

Alyftrek paransi keuhkojen toimintaa yhtä tehokkaasti kuin toinen lääke, Kaftrio, kahdessa päätutkimuksessa, joihin osallistui vähintään 12-vuotiaita kystistä fibroosia sairastavia potilaita. Kaftrio-valmistetta, joka sisältää ivakaftoria, tetsakaftoria ja eleksakaftoria, annetaan aina yhdessä pelkkää ivakaftoria sisältävän lääkkeen kanssa. Kaftrio-valmistetta annetaan potilaille, joilla on kystinen fibroosi, joka johtuu vähintään yhdestä mutaatiosta, joka ei ole *CFTR-geenin* luokan I mutaatio.

Molemmista tutkimuksista yli 12-vuotiaat osallistujat saivat Kaftrio-hoitoa neljän viikon ajan, minkä jälkeen annettiin joko Alyftrek-hoitoa tai jatkettiin Kaftrio-hoitoa. Molemmista tutkimuksista tehon pääasiallisena mittana oli muutos ppFEV1-arvossa eli sen ilman enimmäismäärässä, jonka henkilö pystyy hengittämään ulos yhdessä sekunnissa, verrattuna ominaisuuksiltaan vastaavan keskiarvohenkilön (ikä, pituus ja sukupuoli) arvoihin. Normaali ppFEV1-arvo on yleensä lähellä 100 prosenttiyksikköä, jos keuhkot toimivat normaalisti.

Ensimmäiseen tutkimukseen osallistui 405 potilasta, joilla oli *F508del*-mutaatio ja minimal function -mutaatio. Minimal function -mutaatioissa CFTR-proteiinin tuotanto on (lähes) olematonta tai CFTR-proteiini on viallista eikä reagoi CFTR-modulaattoreihin. Kaftriolla annetun hoidon neljän ensimmäisen viikon jälkeen tutkimukseen osallistuneiden potilaiden keskimääräinen ppFEV1-arvo oli 67,1 prosenttiyksikköä. 24 hoitoviikon jälkeen ppFEV1-arvo säilyi sekä Alyftrek- että Kaftrio-valmistetta saaneilla potilailla.

Toiseen tutkimukseen osallistui 573 potilasta, joilla sekä oli tai ei ollut *F508del*-mutaatiota. Niillä potilailla, joilla ei ollut *F508del*-mutaatiota, oli vähintään yksi mutaatio, joka reagoi Kaftrio-hoitoon. Kaftrio-hoidon ensimmäisten neljän viikon jälkeen tutkimukseen osallistuneiden keskimääräinen ppFEV1-arvo oli 66,8 prosenttiyksikköä. 24 hoitoviikon jälkeen ppFEV1-arvo säilyi sekä Alyftrek- että Kaftrio-valmistetta saaneilla potilailla.

Yhtiö esitti myös tietoja tutkimuksesta, johon osallistui 78 iältään 6–11-vuotiaasta lasta, joilla oli kystinen fibroosi, jonka aiheutti vähintään yksi Kaftrio-hoitoon reagoiva mutaatio. Alyftrek-valmistetta ei verrattu tutkimuksessa toiseen lääkkeeseen tai lumelääkkeeseen. Tutkimuksesta saadut tiedot osoittivat, että Alyftrek vaikuttaa samalla tavalla 6–11-vuotiaisiin lapsiin kuin vanhempiin lapsiin ja aikuisiin. Lisäksi Alyftrek vaikutti keuhkojen toimintaan 6–11-vuotiailla lapsilla yleisesti ottaen samalla tavalla kuin vanhemmilla lapsilla ja aikuisilla kahdessa päätutkimuksessa.

Mitä riskejä Alyftrekiin liittyy?

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Alyftrekin haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Alyftrekin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin 1 potilaalle 10:stä) ovat päänsärky ja ripuli. Jotkin haittavaikutukset voivat olla vakavia. Alyftrek-hoidon yleisin haittavaikutus (jota saattaa aiheutua enintään 1 potilaalle 100:sta) on maksaentsyymien kohonneet pitoisuudet, mikä voi olla merkki maksaongelmista.

Miksi Alyftrek on hyväksytty EU:ssa?

Alyftrekin osoitettiin olevan vähintään yhtä tehokas kuin Kaftrio kystistä fibroosia sairastavien potilaiden hoidossa. Alyftrekin turvallisuusprofiili vastaa Kaftrion turvallisuusprofiilia. Alyftrekin osalta ei havaittu uusia turvallisuusongelmia. Pitkäaikaisesta turvallisuudesta, etenkin lapsilla, on kuitenkin vain vähän tietoa. Euroopan lääkevirasto katsoi, että Alyftrek-valmisteesta saatava hyöty on sen riskiä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Alyftrekin turvallinen ja tehokas käyttö?

Alyftrek-valmistetta markkinoiva yhtiö tekee potilasrekisteriin perustuvan tutkimuksen lisätietojen saamiseksi Alyftrekin turvallisuudesta ja tehosta potilailla, joilla on kystinen fibroosi, jonka aiheuttaa vähintään yksi mutaatio, joka ei ole luokan I mutaatio.

Suosituksset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Alyftrekin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Alyftrekin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Alyftrek-valmisteesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Alyftrek-valmisteesta

Lisätietoja Alyftrek-valmisteesta on viraston verkkosivustolla ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/alyftrek.