



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/198535/2025
EMA/H/C/006382

Alyftrek (*deutivakaftor/tezakaftor/vanzakaftor*)

Pregled informacija o lijeku Alyftrek i zašto je odobren u EU-u

Što je Alyftrek i za što se koristi?

Alyftrek je lijek koji se koristi u osoba u dobi od šest godina i starijih za liječenje cistične fibroze, nasljedne bolesti koja ima teške posljedice na pluća, probavni sustav i druge organe.

Cističnu fibrozu mogu uzrokovati različite mutacije (promjene) gena koji sadrži upute za stvaranje proteina koji se naziva „transmembranski regulator provodljivosti za cističnu fibrozu“ (engl. *cystic fibrosis transmembrane conductance regulator*, CFTR).

Mutacije gena *CFTR* grupirane su u pet različitih klasa (od klase I do klase V) na temelju problema koje uzrokuju u vezi s proizvodnjom proteina CFTR. Alyftrek se primjenjuje u osoba čija je cistična fibroza uzrokovana najmanje jednom mutacijom koja nije mutacija klase I. Mutacije klase I one su mutacije koje dovode do nedostatka proizvodnje proteina CFTR.

Cistična fibroza rijetka je bolest, a lijek Alyftrek dobio je status „lijeka za rijetke bolesti“ 12. studenoga 2021. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na [mrežnom mjestu](#) EMA-e.

Alyftrek sadrži djelatne tvari deutivakaftor, tezakaftor i vanzakaftor.

Kako se Alyftrek primjenjuje?

Alyftrek se izdaje samo na recept. Trebaju ga propisivati samo zdravstveni radnici s iskustvom u liječenju cistične fibroze.

Lijek Alyftrek dostupan je u obliku tableta koje se uzimaju kroz usta jedanput dnevno s hranom koja sadržava masti. Doza lijeka ovisi o tjelesnoj težini bolesnika. Dozu lijeka Alyftrek možda će biti potrebno smanjiti ako bolesnik također uzima vrstu lijeka naziva „umjereni ili jaki inhibitori CYP3A“, kao što su određeni antibiotici ili lijekovi protiv gljivičnih infekcija jer oni mogu utjecati na način djelovanja lijeka Alyftrek u tijelu.

Za više informacija o primjeni lijeka Alyftrek pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

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



Kako djeluje Alyftrek?

Cističnu fibrozu uzrokuju mutacije gena CFTR. Taj gen dovodi do proizvodnje proteina CFTR koji djeluje na površini stanica i regulira stvaranje sluzi u plućima i probavnih sokova u crijevima. Mutacije smanjuju broj proteina CFTR na površini stanica ili utječu na način na koji protein djeluje, što uzrokuje preveliku gustoću sluzi i probavnih sokova, a to dovodi do začepljenja, upale, povećanog rizika od infekcija pluća te loše probave i slabijeg rasta.

Dvije djelatne tvari u lijeku Alyftrek, vanzakaftor i tezakaftor, povećavaju broj proteina CFTR na površini stanica, dok druga djelatna tvar, deutivakaftor, poboljšava aktivnost oštećenog proteina CFTR. Tim zajedničkim djelovanjem razrjeđuju se sluz i probavni sokovi, što pomaže pri ublažavanju simptoma bolesti.

Koje su koristi od lijeka Alyftrek utvrđene u ispitivanjima?

Lijek Alyftrek bio je jednako učinkovit kao i drugi lijek, Kaftrio, u poboljšavanju funkcije pluća u dvama glavnim ispitivanjima u osoba u dobi od 12 godina i starijih oboljelih od cistične fibroze. Kaftrio, koji sadrži ivakaftor, tezakaftor i eleksakaftor, uvijek se primjenjuje zajedno s lijekom koji sadrži samo ivakaftor. Kaftrio se primjenjuje u osoba s cističnom fibrozom uzrokovanom najmanje jednom mutacijom koja nije mutacija gena *CFTR* klase I.

U oba ispitivanja sudionici stariji od 12 godina primali su terapiju lijekom Kaftrio tijekom četiri tjedna, a zatim su primali ili lijek Alyftrek ili su nastavili terapiju lijekom Kaftrio. Glavno mjerilo učinkovitosti u oba ispitivanja bila je promjena u ppFEV1, što je najveća količina zraka koju osoba može izdahnuti u jednoj sekundi u usporedbi s vrijednostima prosječne osobe sličnih karakteristika (kao što su dob, visina i spol). Normalna vrijednost ppFEV1 obično je blizu 100 postotnih bodova kada pluća ispravno funkcioniraju.

U prvom je ispitivanju sudjelovalo 405 sudionika s mutacijom F508del i mutacijom „minimalne funkcije“. Mutacije minimalne funkcije (gotovo) ne proizvode protein CFTR ili proizvode oštećen protein CFTR koji ne reagira na modulatore CFTR-a. Nakon prva četiri tjedna terapije lijekom Kaftrio bolesnici koji su sudjelovali u ispitivanju imali su prosječnu vrijednost ppFEV1 od 67,1 postotnih bodova. Nakon 24 tjedna terapije vrijednost ppFEV1 zadržana je i u sudionika koji su primali lijek Alyftrek i u onih koji su primali lijek Kaftrio.

Druga studija uključivala je 573 sudionika s mutacijom F508del i bez nje. Bolesnici bez mutacije *F508del* imali su najmanje jednu mutaciju koja je reagirala na terapiju lijekom Kaftrio. Nakon prva četiri tjedna liječenja lijekom Kaftrio, sudionici ispitivanja imali su prosječnu vrijednost ppFEV1 od 66,8 postotnih bodova. Nakon 24 tjedna terapije vrijednost ppFEV1 zadržana je i u sudionika koji su primali lijek Alyftrek i u onih koji su primali lijek Kaftrio.

Tvrtka je također dostavila podatke iz ispitivanja u kojem je sudjelovalo 78 djece u dobi od 6 do 11 godina s cističnom fibrozom uzrokovanom barem jednom mutacijom koja reagira na terapiju lijekom Kaftrio. U ispitivanju lijek Alyftrek nije uspoređivan s drugim lijekom ili placebom (prividnim liječenjem). Podatci iz ispitivanja pokazali su da Alyftrek djeluje na isti način u djece u dobi od 6 do 11 godina kao i kod starije djece i odraslih. Osim toga, učinak lijeka Alyftrek na funkciju pluća u djece u dobi od 6 do 11 godina općenito je bio u skladu s učinkom zabilježenim u starije djece i odraslih u dvama glavnim ispitivanjima.

Koji su rizici povezani s lijekom Alyftrek?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom lijek Alyftrek potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Alyftrek (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) uključuju glavobolju i proljev. Neke nuspojave mogu biti ozbiljne. Najčešće nuspojave lijeka Alyftrek (koje se mogu javiti u manje od 1 na 100 osoba) uključuju povišenje jetrenih enzima, što može biti znak problema s jetrom.

Zašto je lijek Alyftrek odobren u EU-u?

Lijek Alyftrek pokazao se barem jednako učinkovitim kao Kaftrio u liječenju osoba s cističnom fibrozom. Sigurnosni profil lijeka Alyftrek sličan je profilu lijeka Kaftrio; nisu utvrđeni novi razlozi za zabrinutost u pogledu sigurnosti lijeka Alyftrek. Međutim, postoje ograničeni podatci o dugoročnoj sigurnosti primjene, posebno u djece. Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Alyftrek nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Alyftrek?

Tvrtka koja stavlja u promet lijek Alyftrek provest će ispitivanje na temelju registra bolesnika kako bi pružila dodatne podatke o sigurnosti i učinkovitosti lijeka Alyftrek u osoba s cističnom fibrozom uzrokovanom barem jednom mutacijom koja nije mutacija klase I.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati radi sigurne i učinkovite primjene lijeka Alyftrek nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Alyftrek kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Alyftrek pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Alyftrek

Više informacija o lijeku Alyftrek dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/alyftrek.