



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/198536/2025
EMA/H/C/006382

Alyftrek (*deutivakaftor* / *tezakaftor* / *vanzakaftor*)

Az Alyftrek-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Alyftrek és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Alyftrek-et 6 éves és idősebb személyeknél alkalmazzák a cisztás fibrózis kezelésére. Ez egy olyan örökletes betegség, amely súlyos hatást gyakorol a tüdőre, az emésztőrendszerre és egyéb szervekre.

A cisztás fibrózist a „cisztás fibrózis transzmembrán konduktancia regulátor” (CFTR) nevű fehérje előállításához szükséges utasításokat tartalmazó gén különböző mutációi (változásai) okozhatják.

A CFTR gén mutációit a CFTR fehérje előállítása során általuk okozott problémák alapján öt különböző osztályba (I–V. osztály) csoportosítják. Az Alyftrek-et olyan személyeknél alkalmazzák, akiknek a cisztás fibrózist legalább egy olyan mutáció okozza, amely nem I. osztályú mutáció. Az I. osztályú mutációk olyan mutációk, amelyek következtében nem termelődik CFTR fehérje.

A cisztás fibrózis ritka, ezért az Alyftrek-et 2021. november 12-én „ritka betegség elleni gyógyszerrel” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

Az Alyftrek hatóanyagai a deutivakaftor, a tezakaftor és a vanzakaftor.

Hogyan kell alkalmazni az Alyftrek-et?

Az Alyftrek csak receptre kapható. A gyógyszert kizárólag a cisztás fibrózis kezelésében tapasztalattal rendelkező egészségügyi szakember írhatja fel.

Az Alyftrek tableta formájában kapható, amelyet szájon át, naponta egyszer, zsírtartalmú étellel együtt kell bevenni. Az adag a beteg testtömegétől függ. Az Alyftrek adagját esetleg csökkenteni kell, ha a beteg egy „közepesen erős vagy erős CYP3A inhibitor” gyógyszert, például bizonyos antibiotikumokat vagy gombás fertőzések kezelésére szolgáló gyógyszereket is szed, mivel ezek befolyásolhatják az Alyftrek hatását a szervezetben.

Az Alyftrek alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



Hogyan fejti ki hatását az Alyftrek?

A cisztás fibrózist a CFTR-gén mutációi okozzák. Ez a gén felelős a CFTR-fehérje termelődéséért, amely a sejtek felszínén hatva szabályozza a nyáktermelést a tüdőben és az emésztőnedvek termelődését a bélben. A mutációk csökkentik a sejtek felszínén található CFTR-fehérjék számát, illetve befolyásolják a fehérje hatásmechanizmusát, aminek következtében a nyák és az emésztőnedvek túl sűrűvé válnak. Ez elzáródáshoz, gyulladásához, a tüdőfertőzések fokozott kockázatához, valamint emésztési problémákhoz és elégtelen növekedéshez vezet.

Az Alyftrek hatóanyagai közül kettő, a vanzakaftor és a tezakaftor növeli a CFTR fehérjék számát a sejtek felszínén, míg a másik hatóanyag, a deuivakaftor javítja a hibás CFTR fehérje aktivitását. Ezen hatások együttese a tüdőben termelt nyák és az emésztőnedvek sűrűségének csökkenését eredményezi, ezáltal elősegítve a betegség tüneteinek enyhülését.

Milyen előnyei voltak az Alyftrek alkalmazásának a vizsgálatok során?

Két fő vizsgálatban, amelyekben 12 éves és idősebb, cisztás fibrózisban szenvedő betegek vettek részt, az Alyftrek ugyanolyan hatásosnak bizonyult a tüdőfunkció javításában, mint egy másik gyógyszer, a Kaftrio. Az ivakaftort, tezakaftort és elexakaftort tartalmazó Kaftrio-t mindig egy önmagában ivakaftort tartalmazó gyógyszerrel együtt kell alkalmazni. A Kaftrio-t legalább egy olyan mutáció által okozott cisztás fibrózisban szenvedő személyeknél alkalmazzák, amely nem I. osztályú mutáció a *CFTR* génben.

A 12 évesnél idősebb résztvevők mindkét vizsgálatban négy hétig Kaftrio-kezelésben részesültek, majd vagy Alyftrek-et kaptak, vagy folytatták a Kaftrio-kezelést. A hatásosság fő mutatója mindkét vizsgálatban a ppFEV1 változása volt, amely az a maximális levegőmennyiség, amelyet a beteg egy másodperc alatt tud kilélegezni, egy hasonló jellemzőkkel (pl. életkor, magasság és nem) rendelkező átlagos személy értékeivel összehasonlítva. A normál ppFEV1 jellemzően megközelíti a 100 százalékpontot, ha a tüdő megfelelően működik.

Az első vizsgálatban 405 résztvevő vett részt, akiknél *F508del* mutáció és „minimális funkciót biztosító mutáció” állt fenn. A minimális funkciós mutációk következtében (szinte) nincs CFTR-fehérje, illetve olyan hibás CFTR-fehérje keletkezik, amely nem reagál a CFTR-modulátorokra. A Kaftrio-val végzett kezelés első 4 hetét követően a vizsgálatban részt vevő betegek átlagos ppFEV1 értéke 67,1 százalékpont volt. 24 hetes kezelést követően a ppFEV1 érték az Alyftrek-kel és a Kaftrio-val kezelt betegekénél egyaránt fennmaradt.

A második vizsgálatban 573, *F508del* mutációt mutató vagy azzal nem rendelkező résztvevő vett részt. Az *F508del* mutációval nem rendelkezők legalább egy olyan mutációval rendelkeztek, amely reagált a Kaftrio-val végzett kezelésre. A Kaftrio-val végzett kezelés első 4 hetét követően a vizsgálat résztvevőinek átlagos ppFEV1 értéke 66,8 százalékpont volt. 24 hetes kezelést követően a ppFEV1 érték az Alyftrek-kel és a Kaftrio-val kezelt betegekénél egyaránt fennmaradt.

A vállalat egy olyan vizsgálatból származó adatokat is benyújtott, amelyben 78, 6 és 11 év közötti, legalább egy, a Kaftrio-kezelésre reagáló mutáció által okozott cisztás fibrózisban szenvedő gyermek vett részt. A vizsgálatban az Alyftrek-et nem hasonlították össze más gyógyszerrel vagy placebóval (hatóanyag nélküli kezelés). A vizsgálatból származó adatok azt mutatták, hogy az Alyftrek ugyanúgy fejti ki hatását a 6–11 éves gyermekeknél, mint az idősebb gyermekeknél és felnőtteknél. Ezenfelül az Alyftrek tüdőfunkcióra gyakorolt hatása 6 és 11 év közötti gyermekeknél általában összhangban állt a két fő vizsgálatban az idősebb gyermekeknél és a felnőtteknél tapasztalttal.

Milyen kockázatokkal jár az Alyftrek alkalmazása?

Az Alyftrek alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Alyftrek leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fejfájás és a hasmenés. Egyes mellékhatások súlyosak lehetnek. Az Alyftrek leggyakoribb mellékhatásai (100 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a májenzimek szintjének emelkedése, amely májproblémák jele lehet.

Miért engedélyezték az Alyftrek forgalomba hozatalát az EU-ban?

A cisztás fibrózisban szenvedő betegek kezelésében az Alyftrek legalább olyan hatékornak bizonyult, mint a Kaftrio. Az Alyftrek biztonságossági profilja hasonló a Kaftrio biztonságossági profiljához; az Alyftrek-kel kapcsolatban nem azonosítottak új biztonságossági aggályokat. A hosszú távú biztonságosságra vonatkozóan azonban korlátozott adatok állnak rendelkezésre, különösen gyermekek esetében. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Alyftrek alkalmazásának előnyei meghaladják annak kockázatait, ezért alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Alyftrek biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Alyftrek-et forgalmazó vállalat egy betegregiszter alapú vizsgálatot fog végezni, hogy további adatokat szolgáltatson az Alyftrek biztonságosságáról és hatásosságáról a legalább egy, I. osztályú mutációnak nem minősülő mutáció által okozott cisztás fibrózisban szenvedő betegeknél.

Az Alyftrek biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Alyftrek alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Alyftrek alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Alyftrek-kel kapcsolatos egyéb információ

Az Alyftrek-kel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/alyftrek.