



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/198538/2025
EMA/H/C/006382

Alyftrek (*deutivakaftoras, tezakaftoras ir vanzakaftoras*)

Alyftrek apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Alyftrek ir kam jis vartojamas?

Alyftrek – tai vaistas, kuriuo gydomi 6 metų ir vyresni žmonės, sergantys cistine fibroze – paveldima liga, kuri smarkiai pažeidžia plaučius, virškinimo sistemą ir kitus organus.

Cistinę fibrozę gali sukelti įvairios geno, kuriame yra informacija, kaip gaminti baltymą, vadinamą cistinės fibrozės transmembraninio laidumo reguliatoriumi (CFTR), mutacijos (pakitimai).

CFTR geno mutacijos skirstomos į penkias skirtingas klases (I–V), atsižvelgiant į sutrikimus, kuriuos jos sukelia gamindamos CFTR baltymą. Alyftrek skiriamas žmonėms, kurių cistinę fibrozę sukelia bent viena mutacija, kuri nėra I klasės mutacija. I klasės mutacijos nesukelia CFTR baltymo gamybos.

Cistinę fibrozę laikoma reta liga, todėl 2021 m. lapkričio 12 d. Alyftrek buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti EMA [interneto svetainėje](#).

Alyftrek sudėtyje yra veikliųjų medžiagų deutivakaftoro, tezakaftoro ir vanzakaftoro.

Kaip vartoti Alyftrek?

Alyftrek galima įsigyti tik pateikus receptą. Jį turėtų skirti tik sveikatos priežiūros specialistai, turintys cistinės fibrozės gydymo patirties.

Gaminamos geriamosios Alyftrek tabletės, vartojamos kartą per parą su maistu, kuriame yra riebalų. Vaisto dozė nustatoma pagal paciento kūno svorį. Alyftrek dozę gali reikėti sumažinti, jei pacientas taip pat vartoja tam tikros rūšies vaistą, vadinamą vidutinio sunkumo arba stipriu CYP3A inhibitoriumi, pavyzdžiui, tam tikrus antibiotikus arba grybelinėms infekcijoms skirtus vaistus, nes jie gali turėti įtakos tam, kaip Alyftrek veikia organizme.

Daugiau informacijos apie Alyftrek vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Alyftrek?

Cistinę fibrozę sukelia CFTR geno mutacijos. Šis genas lemia CFTR gamybą. Veikdamas ląstelių paviršiuje, šis baltymas reguliuoja gleivių gamybą plaučiuose ir virškinimo sulčių gamybą žarnyne. Dėl

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



šių mutacijų ląstelių paviršiuje sumažėja CFTR kiekis arba sutrinka šio baltymo veikimas, todėl gleivės ir virškinimo sultys tampa pernelyg tirštos, dėl to formuojasi kamščiai, prasideda uždegimas, padidėja plaučių infekcijų rizika ir sutrinka virškinimas bei augimas.

Dvi iš Alyftrek veikliųjų medžiagų, vanzakaftoras ir tezakaftoras, didina CFTR baltymų kiekį ląstelių paviršiuje, o kita – deutivakaftoras – slopina pakitusio CFTR baltymo aktyvumą. Dėl tokio šių medžiagų poveikio gleivės plaučiuose ir virškinimo sultys pasidaro ne tokios tirštos, todėl ligos simptomai palengvėja.

Kokia Alyftrek nauda nustatyta tyrimų metu?

Dviejuose pagrindiniuose tyrimuose su cistine fibroze sergančiais 12 metų ir vyresniais žmonėmis Alyftrek buvo toks pat veiksmingas kaip ir kitas vaistas Kaftrio, gerindamas plaučių funkciją. Kaftrio, kurio sudėtyje yra ivakaftoro, tezakaftoro ir eleksakaftoro, visada vartojamas kartu su vaistu, kurio sudėtyje yra tik ivakaftoro. Kaftrio skiriamas pacientams, sergantiems cistine fibroze, kurią sukelia bent viena mutacija, kuri nėra *CFTR* geno I klasės mutacija.

Abiejuose tyrimuose vyresniems nei 12 metų pacientams keturias savaites buvo taikomas gydymas Kaftrio, vėliau jiems buvo skiriamas Alyftrek arba tęsiamas gydymas Kaftrio. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis abiejuose tyrimuose buvo forsuito iškvėpimo tūrio per pirmą sekundę (angl. ppFEV1) pokytis, t. y. didžiausias oro kiekis, kurį asmuo gali iškvėpti per vieną sekundę, palyginti su vidutinio žmogaus, kurio charakteristikos (kaip antai amžius, ūgis ir lytis) yra panašios, plaučių funkcijos rodikliais. Paprastai įprastas ppFEV1 yra beveik 100 procentinių punktų, kai plaučiai tinkamai funkcionuoja.

Pirmame tyrime dalyvavo 405 dalyviai, kuriems buvo nustatyta *F508del* mutacija ir minimalios funkcijos mutacija. Minimalios funkcijos mutacijos (beveik) negamina CFTR baltymo ar pakitusio CFTR baltymo, kuris nereaguoja į CFTR modulatorius. Po pirmų 4 gydymo Kaftrio savaitių tyrime dalyvavusių pacientų ppFEV1 buvo vidutiniškai 67,1 procentinio punkto. Po 24 gydymo savaitių pacientų, kuriems buvo leidžiamas Alyftrek, ir pacientų, kuriems buvo leidžiamas Kaftrio, ppFEV1 išliko toks pat.

Antrame tyrime dalyvavo 573 dalyviai, kuriems nustatyta *F508del* mutacija ir kuriems ji nenustatyta. Pacientams, kuriems nenustatyta *F508del* mutacija, nustatyta bent viena mutacija, kuri reagavo į gydymą Kaftrio. Po pirmųjų keturių gydymo Kaftrio savaitių tyrimo dalyvių vidutinis ppFEV1 buvo 66,8 procentinio punkto. Po 24 gydymo savaitių pacientų, kuriems buvo leidžiamas Alyftrek, ir pacientų, kuriems buvo leidžiamas Kaftrio, ppFEV1 išliko toks pat.

Bendrovė taip pat pateikė tyrimo, kuriame dalyvavo 78 vaikai nuo 6 iki 11 metų, sergantys cistine fibroze, kurią sukelia bent viena iš mutacijų, reaguojančių į gydymą Kaftrio, duomenis. Tyrime Alyftrek nebuvo lyginamas su kitu vaistu ar placebo (preparatu be veikliosios medžiagos). Tyrimo duomenys parodė, kad 6–11 metų vaikų organizme Alyftrek veikia taip pat, kaip ir vyresnio amžiaus vaikų bei suaugusiųjų organizme. Be to, Alyftrek poveikis 6–11 metų amžiaus vaikų plaučių funkcijai iš esmės atitiko poveikį vyresnio amžiaus vaikams ir suaugusiems dviejuose pagrindiniuose tyrimuose.

Kokia rizika susijusi su Alyftrek vartojimu?

Išsamų visų Alyftrek šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausi Alyftrek šalutiniai reiškiniai (galintys pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra galvos skausmas ir viduriavimas. Kai kurie šalutinio poveikio reiškiniai gali būti sunkūs. Dažniausias Alyftrek šalutinis poveikis (galintis pasireikšti ne daugiau kaip 1 žmogui iš 100) yra kepenų fermentų kiekio padidėjimas, kuris gali būti kepenų veiklos sutrikimų požymis.

Kodėl Alyftrek buvo registruotas ES?

Nustatyta, kad Alyftrek yra ne mažiau veiksmingas nei Kaftrio gydant cistine fibroze sergančius pacientus. Alyftrek saugumo charakteristikos panašios į Kaftrio; jokių naujų susirūpinimą keliančių saugumo klausimų vartojant Alyftrek nenustatyta. Tačiau duomenų apie ilgalaikį vaisto saugumą, ypač gydant vaikus, yra nedaug. Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Alyftrek nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Alyftrek vartojimą?

Alyftrek prekiaujanti bendrovė atliks pacientų registru pagrįstą tyrimą, kad pateiktų daugiau duomenų apie Alyftrek saugumą ir veiksmingumą cistine fibroze sergantiems žmonėms, kuriuos sukėlė bent viena ne I klasės mutacija.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Alyftrek vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Alyftrek vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Alyftrek šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Alyftrek

Daugiau informacijos apie Alyftrek rasite Agentūros tinklalapyje adresu:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/alyftrek.