



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/198539/2025
EMA/H/C/006382

Alyftrek ((*deutivakaftors/tezakaftors/vanzakaftors*))

Alyftrek pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir Alyftrek un kāpēc tās lieto?

Alyftrek ir zāles, ko lieto cilvēkiem no sešu gadu vecuma cistiskās fibrozes ārstēšanai. Cistiskā fibroze ir iedzimta slimība, kas smagi ietekmē plaušas, gremošanas sistēmu un citus orgānus.

Cistisko fibrozi var izraisīt dažādas mutācijas (izmaiņas) gēnā, kas satur norādījumus par proteīna, ko dēvē par "cistiskās fibrozes transmembrānu caurlaidības regulatoru" (*CFTR*), sintēzi.

CFTR gēna mutācijas ir sagrupētas piecās dažādās klasēs (no I līdz V klasei), pamatojoties uz problēmām, ko tās rada *CFTR* proteīna ražošanā. Alyftrek lieto cilvēkiem, kuriem cistisko fibrozi izraisa vismaz viena mutācija, kas nav I klases mutācija. I kategorijas mutācijas ir mutācijas, kuru rezultātā netiek ražots *CFTR* proteīns.

Cistiskā fibroze ir reta, un 2021. gada 12. novembrī Alyftrek tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Detalizēta informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodamā EMA [tīmekļa vietnē](#).

Alyftrek satur aktīvās vielas deuvakaftoru, tezakaftoru un vanzakaftoru.

Kā lieto Alyftrek?

Alyftrek var iegādāties tikai pret recepti. Šīs zāles drīkst izrakstīt tikai veselības aprūpes speciālisti ar pieredzi cistiskās fibrozes ārstēšanā.

Alyftrek ir pieejamas iekšķīgi lietojamu tablešu veidā vienu reizi dienā kopā ar taukus saturošu pārtiku. Deva ir atkarīga no pacienta ķermeņa masas. Alyftrek deva var būt jāsamazina, ja pacients lieto arī zāles, ko sauc par "vidēji stipru vai stipru CYP3A inhibitoru", piemēram, noteiktas antibiotikas vai zāles sēnīšu infekciju ārstēšanai, jo tās var ietekmēt Alyftrek iedarbību organismā.

Papildu informāciju par Alyftrek lietošanu skatiet zāļu lietošanas instrukcijā vai jautājiet ārstam vai farmaceitam.

Kā Alyftrek darbojas?

Cistisko fibrozi izraisa mutācijas *CFTR* gēnā. Šis gēns noved pie *CFTR* olbaltumvielas veidošanās, kas iedarbojas uz šūnu virsmas, regulējot gļotu veidošanos plaušās un gremošanas sulās zarnās. Mutācijas

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



mazina *CFTR* olbaltumvielu skaitu uz šūnas virsmas vai ietekmē olbaltumvielas darbības veidu, kā rezultātā gļotas un gremošanas sulas ir pārāk biezas, kas izraisa aizsprostojumus, iekaisumu, paaugstinātu plaušu infekciju risku, sliktu gremošanu un augšanu.

Alyftrek divas aktīvās vielas – vanzakaftors un tezakaftors – palielina *CFTR* olbaltumvielu skaitu uz šūnu virsmas, bet otra aktīvā viela, deutikaftors, uzlabo defektīvās *CFTR* olbaltumvielas aktivitāti. Šīs darbības kopā sašķidrina gļotas un gremošanas sulas, tādējādi palīdzot atvieglot slimības simptomus.

Kādi *Alyftrek* ieguvumi atklāti pētījumos?

Divos pamatpētījumos ar cistiskās fibrozes pacientiem no 12 gadu vecuma *Alyftrek* bija tikpat efektīvas kā citas zāles *Kaftrio* plaušu darbības uzlabošanā. *Kaftrio*, kas satur ivakaftoru, tezakaftoru un eleksakaftoru, vienmēr lieto kopā ar zālēm, kas satur tikai ivakaftoru. *Kaftrio* lieto pacientiem ar cistisko fibrozi, ko izraisījusi vismaz viena mutācija, kas nav I klases mutācija *CFTR* gēnā.

Abos pētījumos dalībnieki, kas vecāki par 12 gadiem, četras nedēļas saņēma ārstēšanu ar *Kaftrio* un pēc tam saņēma vai nu *Alyftrek*, vai turpmāku ārstēšanu ar *Kaftrio*. Galvenais efektivitātes rādītājs abos pētījumos bija ppFEV1 izmaiņas, kas ir maksimālais gaisa daudzums, ko cilvēks var izelpot vienā sekundē, salīdzinot ar vērtībām, kas iegūtas vidusmēra cilvēkam ar līdzīgām īpašībām (piemēram, vecums, augums un dzimums). Ja plaušas darbojas pareizi, normāls ppFEV1 parasti ir tuvu 100 procentu punktiem.

Pirmajā pētījumā piedalījās 405 dalībnieki ar *F508del* mutāciju un "minimālās funkcijas" mutāciju. Minimālas funkcijas mutācijas (gandrīz) nerada *CFTR* proteīnu vai rada bojātu *CFTR* proteīnu, kas nereaģē uz *CFTR* modulatoriem. Pēc pirmajām četrām ārstēšanas nedēļām ar *Kaftrio* pētījumā iesaistītajiem pacientiem vidējais ppFEV1 rādītājs bija 67,1 procentpunkts. Pēc 24 ārstēšanas nedēļām ppFEV1 saglabājās gan pacientiem, kuri saņēma *Alyftrek*, gan pacientiem, kuri saņēma *Kaftrio*.

Otrajā pētījumā piedalījās 573 dalībnieki ar *F508del* mutāciju un bez tās. Tiem, kuriem nebija *F508del* mutācijas, bija vismaz viena mutācija, kas reaģēja uz ārstēšanu ar *Kaftrio*. Pēc pirmajām četrām ārstēšanas nedēļām ar *Kaftrio* pētījuma dalībniekiem vidējais ppFEV1 rādītājs bija 66,8 procentpunkti. Pēc 24 ārstēšanas nedēļām ppFEV1 saglabājās gan pacientiem, kuri saņēma *Alyftrek*, gan pacientiem, kuri saņēma *Kaftrio*.

Uzņēmums iesniedza arī datus no pētījuma, kurā piedalījās 78 bērni vecumā no 6 līdz 11 gadiem ar cistisko fibrozi, ko izraisījusi vismaz viena mutācija, kas reaģē uz ārstēšanu ar *Kaftrio*. Pētījumā *Alyftrek* netika salīdzināta ar citām zālēm vai placebo (fiktīva ārstēšana). Pētījuma dati liecināja, ka *Alyftrek* bērniem vecumā no sešiem līdz 11 gadiem darbojas tāpat kā vecākiem bērniem un pieaugušajiem. Turklāt *Alyftrek* ietekme uz plaušu darbību bērniem vecumā no 6 līdz 11 gadiem kopumā atbilda ietekmei, kas tika novērota vecākiem bērniem un pieaugušajiem divos pamatpētījumos.

Kāds risks pastāv, lietojot *Alyftrek*?

Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Alyftrek*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Alyftrek* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir galvassāpes un caureja. Dažas blakusparādības var būt nopietnas. Visbiežākās *Alyftrek* blakusparādības (kas var rasties līdz 1 no 100 cilvēkiem) ir aknu enzīmu līmeņa paaugstināšanās, kas var liecināt par aknu darbības traucējumiem.

Kāpēc *Alyftrek* ir reģistrētas ES?

Tika pierādīts, ka *Alyftrek* ir vismaz tikpat efektīvas kā *Kaftrio*, ārstējot cilvēkus ar cistisko fibrozi. *Alyftrek* drošuma profils ir līdzīgs *Kaftrio* drošuma profilam; saistībā ar *Alyftrek* netika konstatētas jaunas bažas par drošumu. Tomēr dati par ilgtermiņa drošumu, jo īpaši attiecībā uz bērniem, ir ierobežoti. Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Alyftrek*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Alyftrek* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Alyftrek*, veiks pētījumu, pamatojoties uz pacientu reģistru, lai sniegtu papildu datus par *Alyftrek* drošumu un efektivitāti cilvēkiem ar cistisko fibrozi, ko izraisījusi vismaz viena mutācija, kas nav I klases mutācija.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Alyftrek* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Alyftrek* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Alyftrek* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Alyftrek*

Sīkāka informācija par *Alyftrek* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/alyftrek.