



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/198540/2025
EMA/H/C/006382

Alyftrek (*deutivacaftor / tezacaftor / vanzacaftor*)

Ħarsa ġenerali lejn Alyftrek u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhum Alyftrek u għal xiex jintuża?

Alyftrek huwa medikament li tintuża f'persuni minn 6 snin 'il fuq biex tikkura fibrozi ċistika, marda ereditarja li għandha effetti severi fuq il-pulmun, is-sistema diġestiva u organi oħra.

Il-fibrozi ċistika tista' tiġi kkawżata minn diversi mutazzjonijiet (bidliet) fil-gene li jkun fihom struzzjonijiet biex issir proteina msejha 'regolatur tal-konduttanza transmembrana tal-fibrozi ċistika' (CFTR).

Il-mutazzjonijiet fil-gene *CFTR* jingabru f'ħames klassijiet differenti (klassi I sa klassi V) abbażi tal-problemi li jikkawżaw bil-produzzjoni tal-proteina CFTR. Alyftrek jintuża f'persuni li l-fibrozi ċistika tagħhom hija kkawżata minn mill-inqas mutazzjoni waħda li mhijiex mutazzjoni tal-klassi I. Il-mutazzjonijiet tal-Klassi I huma mutazzjonijiet li jirriżultaw f'li ma tiġi prodotta l-ebda proteina CFTR.

Il-fibrozi ċistika hija rari, u Alyftrek ġie denominat b'hal "medikament orfni" (medikament li tintuża f'mard rari) fit-12 ta' Novembru 2021. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab fuq is-[sit web](#) tal-EMA.

Alyftrek fih is-sustanzi attivi deutivacaftor, tezacaftor u vanzacaftor.

Kif jintuża Alyftrek?

Alyftrek jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib. Għandu jiġi preskritt biss minn professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa b'esperjenza fil-kura ta' fibrozi ċistika.

Alyftrek jiġi b'hal pilloli li jittieħdu mill-ħalq darba kuljum ma' ikel li jkun fih ix-xaħam. Id-doża tiddependi fuq il-piż tal-ġisem tal-pazjent. Id-doża ta' Alyftrek jaf ikollha bżonn li titnaqqas jekk il-pazjent ikun qed jieħu wkoll tip ta' medikament msejha "inibitur ta' CYP3A moderat jew qawwi", b'hal ċerti antibijotiċi jew medikamenti għal infezzjonijiet fungali, peress li dawn jistgħu jaffettwaw il-mod kif jaħdem Alyftrek fil-ġisem.

Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Alyftrek, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispjazzar tiegħek.

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



Kif jaħdem Alyftrek?

Il-fibroži ċistika tiġi kkawżata minn mutazzjonijiet fil-gene CFTR. Dan il-gene jwassal għall-produzzjoni tal-proteina CFTR, li taħdem fuq il-wiċċ taċ-ċelloli biex tirregola l-produzzjoni tal-mukus fil-pulmuni u fil-likwidi diġestivi fl-imsaren. Il-mutazzjonijiet inaqqsu n-numru ta' proteini CFTR fuq il-wiċċ iċ-ċelloli jew jaffettwaw il-mod kif taħdem il-proteina, li dan iwassal biex il-mukus u l-fluwidi diġestivi jkunu wisq magħquda, li jwassal għal imblokk, infjammazzjoni, riskju akbar ta' infezzjonijiet fil-pulmun, u diġestjoni u tkabbir dgħajfa.

Tnejn mis-sustanzi attivi f'Alyftrek, il-vanzacaftor u t-tezacaftor, iżidu n-numru ta' proteini CFTR fuq il-wiċċ taċ-ċellola, filwaqt li l-oħra, deutivacaftor, ittejjeb l-attività tal-proteina CFTR difettuża. Dawn l-azzjonijiet flimkien jagħmlu l-mukus tal-pulmun u l-likwidi diġestivi inqas magħquda, b'hekk jgħinu biex itaffu s-sintomi tal-marda.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Alyftrek li ħarġu mill-istudji?

Alyftrek kien effettiv daqs medicina oħra, Kaftrio, fit-titjib tal-funzjoni tal-pulmun f'żewġ studji ewlenin f'persuni minn 12-il sena 'l fuq li jbatu mill-fibroži ċistika. Kaftrio, li fih ivacaftor, tezacaftor u elxacaftor, jingħata dejjem flimkien ma' medicina li fiha ivacaftor waħdu. Kaftrio jintuza f'persuni bil-fibroži ċistika kkawżata minn tal-inqas mutazzjoni waħda li mhijiex mutazzjoni tal-klassi I fil-gene *CFTR*.

Fiz-żewġ studji, il-parteciċipanti li kellhom aktar minn 12-il sena rċevew kura b'Kaftrio għal erba' ġimgħat u mbagħad ingħataw jew Alyftrek jew komplew il-kura b'Kaftrio. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja fiz-żewġ studji kien il-bidla fil-ppFEV1, li hija l-ammont massimu ta' arja li persuna tista' tieħu n-nifs f'sekonda meta mqabbla mal-valuri minn persuna medja b'karatteristiċi simili (bħall-età, l-għoli u s-sess). PpFEV1 normali huwa tipikament qrib 100 punt perċentwali meta l-pulmuni jkunu qed jaħdmu kif suppost.

L-ewwel studju involva 405 parteciċipanti b'mutazzjoni *F508del* u mutazzjoni ta' "funzjoni minima". Mutazzjonijiet ta' funzjoni minima ma jipproduċu (kważi) l-ebda proteina CFTR jew proteina CFTR difettuża li ma tirrispondix għall-modulatori tas-CFTR. Wara l-ewwel 4 ġimgħat ta' kura b'Kaftrio, il-pazjenti fl-istudju kellhom ppFEV1 medju ta' 67.1 punti perċentwali. Wara 24 ġimgħa ta' kura, il-PFEV1 inżamm kemm fil-parteciċipanti li ngħataw Alyftrek kif ukoll f'dawk li ngħataw Kaftrio.

It-tieni studju involva 573 parteciċipant b' mutazzjoni *F508del* u mingħajrha. Dawk mingħajr mutazzjoni *F508del* kellhom mill-inqas mutazzjoni waħda li rrispondiet għall-kura b'Kaftrio. Wara l-ewwel 4 ġimgħat ta' kura b'Kaftrio, il-parteciċipanti fl-istudju kellhom medja ta' ppFEV1 ta' 66.8 punti perċentwali. Wara 24 ġimgħa ta' kura, il-PFEV1 inżamm kemm fil-parteciċipanti li ngħataw Alyftrek kif ukoll f'dawk li ngħataw Kaftrio.

Il-kumpanija pprezentat ukoll *data* minn studju li involva 78 tifel u tifla minn 6 sa 11-il sena b'fibroži ċistika kkawżata minn mill-inqas mutazzjoni waħda li tirrispondi għall-kura b'Kaftrio. L-istudju ma qabbilx Alyftrek ma' medicina oħra jew ma' placebo (kura finta). *Data* mill-istudju wriet li Alyftrek jaħdem bl-istess mod fi tfal li għandhom bejn 6 snin u 11-il sena bħalma jaħdem fi tfal akbar fl-età u fl-adulti. Barra minn hekk, l-effett ta' Alyftrek fuq il-funzjoni tal-pulmun fit-tfal ta' bejn is-6 snin u l-11-il sena kien ġeneralment konsistenti ma' dak li deher fi tfal ikbar fl-età u fl-adulti fiz-żewġ studji ewlenin.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Alyftrek?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Alyftrek, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Alyftrek (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) jinkludu wġiġh ta' ras u dijarea. Xi effetti sekondarji jistgħu jkunu serji. L-aktar frekwenti b'Alyftrek (li jista' jaffettwa sa persuna 1 minn kull 100) jinkludu żieda fl-enzimi tal-fwied li tista' tkun sinjal ta' problemi bil-fwied.

Għaliex Alyftrek ġie awtorizzat fl-UE?

Alyftrek intwera li kien tal-inqas effettiv daqs Kaftrio għall-kura ta' persuni b'fibrozi ċistika. Il-profil tas-sikurezza ta' Alyftrek huwa simili għal dak ta' Kaftrio; ma ġie identifikat l-ebda tħassib ġdid dwar is-sikurezza b'Alyftrek. Madankollu, hemm *data* limitata dwar is-sigurtà fit-tul, b'mod partikolari fit-tfal. L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Alyftrek huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Alyftrek?

Il-kumpanija li tqiegħed Alyftrek fis-suq se twettaq studju bbażat fuq reġistru tal-pazjenti biex ttiprovdi aktar *data* dwar is-sikurezza u l-effettività ta' Alyftrek f'persuni b'fibrozi ċistika kkawżata minn mill-inqas mutazzjoni waħda li mhijiex mutazzjoni tal-Klassi I.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Alyftrek.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Alyftrek hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Alyftrek huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex ttiproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Alyftrek

Aktar informazzjoni dwar Alyftrek tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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