EMA/198543/2025
EMEA/H/C/006382

Alyftrek (*deutivacaftor/tezacaftor/vanzacaftor*)

Um resumo sobre Alyftrek e por que está autorizado na UE

O que é Alyftrek e para que é utilizado?

Alyftrek é um medicamento utilizado em pessoas com idade igual ou superior a 6 anos para o tratamento da fibrose quística, uma doença hereditária que tem efeitos graves nos pulmões, no sistema digestivo e noutros órgãos.

A fibrose quística pode ser causada por várias mutações (alterações) no gene que contém instruções para a produção de uma proteína denominada «regulador da condutância transmembranar da fibrose quística» (CFTR).

As mutações no gene *CFTR* são agrupadas em cinco classes diferentes (classe I a classe V) com base nos problemas que causam na produção da proteína CFTR. Alyftrek é utilizado em pessoas cuja fibrose quística é causada por, pelo menos, uma mutação que não é uma mutação de classe I. As mutações de classe I são mutações que resultam na não produção de proteína CFTR.

A fibrose quística é uma doença rara, e Alyftrek foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 12 de novembro de 2021. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas no sítio Web da EMA.

Alyftrek contém as substâncias ativas deutivacaftor, tezacaftor e vanzacaftor.

Como se utiliza Alyftrek?

Alyftrek só pode ser obtido mediante receita médica. O medicamento só deve ser prescrito por profissionais de saúde com experiência no tratamento da fibrose quística.

Alyftrek está disponível na forma de comprimidos tomados por via oral uma vez por dia com alimentos que contenham gordura. A dose a utilizar depende do peso corporal do doente. Pode ser necessário reduzir a dose de Alyftrek se o doente estiver também a tomar um tipo de medicamento denominado «inibidor moderado ou forte da CYP3A», como determinados antibióticos ou medicamentos para infeções fúngicas, uma vez que podem afetar a forma como Alyftrek atua no organismo.

Para mais informações sobre a utilização de Alyftrek, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

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

© European Medicines Agency, 2025. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Como funciona Alyftrek?

A fibrose quística é causada por mutações no gene CFTR. Este gene leva à produção da proteína CFTR, que atua na superfície das células para regular a produção de muco nos pulmões e sucos digestivos no intestino. As mutações reduzem o número de proteínas CFTR na superfície celular ou afetam o seu modo de funcionamento, resultando em muco e fluidos digestivos demasiado espessos, o que leva a bloqueios, inflamação, aumento do risco de infeções pulmonares e má digestão e crescimento.

Duas das substâncias ativas de Alyftrek, o vanzcaftor e o tezacaftor, aumentam o número de proteínas CFTR na superfície celular, ao passo que a outra, o deuticaftor, melhora a atividade da proteína CFTR defeituosa. Estas ações tornam o muco nos pulmões e os sucos digestivos menos espessos, ajudando, assim, a aliviar os sintomas da doença.

Quais os benefícios demonstrados por Alyftrek durante os estudos?

Alyftrek foi tão eficaz como outro medicamento, Kaftrio, na melhoria da função pulmonar em dois estudos principais em pessoas com idade igual ou superior a 12 anos com fibrose quística. Kaftrio, que contém ivacaftor, tezacaftor e elexacaftor, é sempre administrado em conjunto com um medicamento que contém ivacaftor isoladamente. Kaftrio é utilizado em pessoas com fibrose quística causada por, pelo menos, uma mutação que não é uma mutação de classe I no gene *CFTR*.

Em ambos os estudos, os participantes com mais de 12 anos de idade receberam tratamento com Kaftrio durante quatro semanas e, em seguida, receberam Alyftrek ou continuaram o tratamento com Kaftrio. O principal parâmetro de eficácia em ambos os estudos foi a alteração do ppFEV1, que é a quantidade máxima de ar que uma pessoa consegue expirar num segundo, em comparação com valores de uma pessoa média com características semelhantes (como idade, altura e sexo). O ppFEV1 normal é tipicamente próximo de 100 pontos percentuais quando os pulmões funcionam adequadamente.

O primeiro estudo incluiu 405 participantes com uma mutação *F508del* e uma mutação de «função mínima». As mutações de funções mínimas produzem (quase) nenhuma proteína CFTR ou uma proteína CFTR defeituosa que não responde aos moduladores CFTR. Após as primeiras 4 semanas de tratamento com Kaftrio, os doentes no estudo apresentaram um ppFEV1 médio de 67,1 pontos percentuais. Após 24 semanas de tratamento, o ppFEV1 foi mantido tanto nos participantes que receberam Alyftrek como nos que receberam Kaftrio.

O segundo estudo incluiu 573 participantes com e sem uma mutação *F508del*. Os doentes sem uma mutação *F508del* apresentaram, pelo menos, uma mutação que respondeu ao tratamento com Kaftrio. Após as primeiras 4 semanas de tratamento com Kaftrio, os participantes no estudo apresentavam um ppFEV1 médio de 66,8 pontos percentuais. Após 24 semanas de tratamento, o ppFEV1 foi mantido tanto nos participantes que receberam Alyftrek como nos que receberam Kaftrio.

A empresa apresentou igualmente dados de um estudo que incluiu 78 crianças com idades compreendidas entre os 6 e os 11 anos com fibrose quística causada por, pelo menos, uma mutação sensível ao tratamento com Kaftrio. O estudo não comparou Alyftrek com outro medicamento nem com um placebo (tratamento simulado). Os dados do estudo demonstraram que Alyftrek funciona da mesma forma nas crianças com idades compreendidas entre os 6 e os 11 anos, como nas crianças mais velhas e nos adultos. Além disso, o efeito de Alyftrek na função pulmonar em crianças com idades compreendidas entre os 6 e os 11 anos foi, de um modo geral, coerente com o observado em crianças mais velhas e adultos nos dois estudos principais.

Quais são os riscos associados a Alyftrek?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Alyftrek, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Alyftrek (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem dores de cabeça e diarreia. Alguns efeitos secundários podem ser graves. As mais frequentes com Alyftrek (que podem afetar 1 em cada 100 pessoas) incluem um aumento das enzimas hepáticas, o que pode ser um sinal de problemas com o fígado.

Por que está Alyftrek autorizado na UE?

Alyftrek demonstrou ser pelo menos tão eficaz como Kaftrio no tratamento de pessoas com fibrose quística. O perfil de segurança de Alyftrek é semelhante ao de Kaftrio; não foram identificadas novas preocupações de segurança com Alyftrek. No entanto, os dados sobre a segurança a longo prazo são limitados, em particular nas crianças. A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Alyftrek são superiores aos seus riscos e que o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Alyftrek?

A empresa que comercializa Alyftrek irá realizar um estudo com base num registo de doentes para fornecer dados adicionais sobre a segurança e a eficácia de Alyftrek em pessoas com fibrose quística causada por, pelo menos, uma mutação que não é uma mutação de Classe I.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Alyftrek.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Alyftrek são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Alyftrek são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Alyftrek

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/alyftrek.