



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/198544/2025
EMA/H/C/006382

Alyftrek (*deutivacaftor/tezacaftor/vanzacaftor*)

Prezentare generală a Alyftrek și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Alyftrek și pentru ce se utilizează?

Alyftrek este un medicament care se utilizează la persoanele cu vârsta de 6 ani și peste pentru tratarea fibrozei chistice, o boală ereditară cu efecte severe asupra plămânilor, a sistemului digestiv și a altor organe.

Fibroza chistică poate fi cauzată de diverse mutații (modificări) ale genei care conține instrucțiuni pentru producerea unei proteine numite „regulator de conductanță transmembranară al fibrozei chistice” (CFTR).

Mutațiile genei *CFTR* sunt grupate în cinci clase diferite (clasele I-V) în funcție de problemele pe care le cauzează în producerea proteinei CFTR. Alyftrek se utilizează la persoanele la care fibroza chistică este cauzată de cel puțin o mutație care nu este o mutație din clasa I. Mutațiile din clasa I sunt mutații care nu determină producerea niciunei proteine CFTR.

Fibroza chistică este rară, iar Alyftrek a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 12 noiembrie 2021. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul](#) EMA.

Alyftrek conține substanțele active deutivacaftor, tezacaftor și vanzacaftor.

Cum se utilizează Alyftrek?

Alyftrek se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Medicamentul poate fi prescris numai de cadre medicale cu experiență în tratamentul fibrozei chistice.

Alyftrek este disponibil sub formă de comprimate administrate pe cale orală o dată pe zi cu alimente care conțin grăsime. Doza depinde de greutatea pacientului. Poate fi necesară reducerea dozei de Alyftrek dacă pacientul ia și un tip de medicament numit „inhibitor moderat sau puternic al CYP3A”, cum ar fi anumite antibiotice sau medicamente pentru infecții fungice, deoarece acestea pot afecta modul în care Alyftrek acționează în organism.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Alyftrek, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

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



Cum acționează Alyftrek?

Fibroza chistică este cauzată de mutații ale genei CFTR. Această genă determină producția proteinei CFTR, care acționează la suprafața celulelor pentru a regla producția de mucus în plămâni și de sucuri gastrice în intestin. Mutațiile reduc numărul de proteine CFTR de pe suprafața celulelor sau afectează funcționarea proteinei, ducând la îngroșarea mucusului și sucurilor gastrice, ceea ce duce la blocaje, inflamații, risc mărit de infecții pulmonare și digestie și creștere deficitară.

Două dintre substanțele active din Alyftrek, vanzacaftorul și tezacaftorul, măresc numărul de proteine CFTR de pe suprafața celulelor, în timp ce celălalt, deutivacaftorul, îmbunătățește activitatea proteinei CFTR defecte. Aceste acțiuni se combină pentru a subția mucusul pulmonar și sucurile gastrice, ajutând astfel la ameliorarea simptomelor bolii.

Ce beneficii a prezentat Alyftrek pe parcursul studiilor?

În două studii principale efectuate la persoane cu vârsta de cel puțin 12 ani cu fibroză chistică, Alyftrek a fost la fel de eficace ca alt medicament, Kaftrio, în îmbunătățirea funcției pulmonare. Kaftrio, care conține ivacaftor, tezacaftor și elexacaftor, se administrează întotdeauna împreună cu un medicament care conține numai ivacaftor. Kaftrio se utilizează la persoanele cu fibroză chistică cauzată de cel puțin o mutație care nu este o mutație din clasa I a genei *CFTR*.

În ambele studii, participanții cu vârsta de peste 12 ani au făcut tratament cu Kaftrio timp de patru săptămâni și apoi fie li s-a administrat Alyftrek, fie au continuat tratamentul cu Kaftrio. Principala măsură a eficacității în ambele studii a fost modificarea ppVEF1, care reprezintă cantitatea maximă de aer pe care o persoană o poate respira într-o secundă în comparație cu valorile unei persoane medii cu caracteristici similare (cum ar fi vârsta, înălțimea și sexul). Un ppVEF1 normal este în general aproape de 100 de puncte procentuale când plămânii funcționează normal.

Primul studiu a cuprins 405 participanți cu o mutație *F508del* și o mutație cu „funcție minimă”. Mutațiile cu funcție minimă nu produc (aproape) nicio proteină CFTR sau o proteină CFTR defectă care nu este receptivă la modulatorii CFTR. După primele 4 săptămâni de tratament cu Kaftrio, pacienții din studiu au avut un ppVEF1 mediu de 67,1 puncte procentuale. După 24 de săptămâni de tratament, ppVEF1 s-a menținut atât la participanții cărora li s-a administrat Alyftrek, cât și la cei cărora li s-a administrat Kaftrio.

Al doilea studiu a cuprins 573 de participanți cu și fără o mutație *F508del*. Pacienții fără o mutație *F508del* au avut cel puțin o mutație care a răspuns la tratamentul cu Kaftrio. După primele 4 săptămâni de tratament cu Kaftrio, participanții la studiu au avut o valoare medie a ppVEF1 de 66,8 puncte procentuale. După 24 de săptămâni de tratament, ppVEF1 s-a menținut atât la participanții cărora li s-a administrat Alyftrek, cât și la cei cărora li s-a administrat Kaftrio.

Compania a prezentat, de asemenea, date dintr-un studiu care a cuprins 78 de copii cu vârste cuprinse între 6 și 11 ani cu fibroză chistică cauzată de cel puțin o mutație receptivă la tratamentul cu Kaftrio. Studiul nu a comparat Alyftrek cu alt medicament sau cu placebo (un preparat inactiv). Datele din studiu au arătat că Alyftrek acționează în același mod la copiii cu vârste cuprinse între 6 și 11 ani ca și la copiii mai mari și la adulți. În plus, efectul Alyftrek asupra funcției pulmonare la copiii cu vârste cuprinse între 6 și 11 ani a fost, în general, concordant cu cel observat la copiii mai mari și la adulți în cele două studii principale.

Care sunt riscurile asociate cu Alyftrek?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Alyftrek, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Alyftrek (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt dureri de cap și diaree. Unele reacții adverse pot fi grave. Cea mai frecventă reacție adversă asociată cu Alyftrek (care poate afecta cel mult 1 persoană din 100) este o creștere a enzimelor hepatice, care poate fi un semn de probleme la ficat.

De ce a fost autorizat Alyftrek în UE?

Alyftrek s-a dovedit cel puțin la fel de eficace ca Kaftrio în tratamentul persoanelor cu fibroză chistică. Profilul de siguranță al Alyftrek este similar cu cel al Kaftrio; nu s-au identificat noi motive de îngrijorare privind siguranța asociate cu Alyftrek. Datele privind siguranța pe termen lung, în special la copii, sunt însă limitate. Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Alyftrek sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Alyftrek?

Compania care comercializează Alyftrek va efectua un studiu pe baza unui registru al pacienților pentru a furniza date suplimentare privind siguranța și eficacitatea Alyftrek la persoanele cu fibroză chistică cauzată de cel puțin o mutație care nu este o mutație din clasa I.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Alyftrek, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Alyftrek sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Alyftrek sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Alyftrek

Mai multe informații despre Alyftrek se pot găsi pe site-ul agenției:

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