



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/198545/2025
EMA/H/C/006382

Alyftrek (*deutivakaftor/tezakaftor/vanzakaftor*)

Prehľad o lieku Alyftrek a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Alyftrek a na čo sa používa?

Alyftrek je liek, ktorý sa používa u osôb vo veku od 6 rokov na liečbu cystickej fibrózy, dedičného ochorenia, ktoré má závažný vplyv na pľúca, tráviaci systém a ďalšie orgány.

Cystickú fibrózu môžu spôsobovať rôzne mutácie (zmeny) v géne, ktorý obsahuje pokyny na tvorbu proteínu nazývaného transmembránový regulátor vodivosti pri cystickej fibróze (CFTR).

Mutácie v géne *CFTR* sú zoskupené do piatich rôznych tried (trieda I až V) na základe problémov, ktoré spôsobujú pri tvorbe proteínu CFTR. Liek Alyftrek sa používa u osôb, ktorých cystická fibróza je spôsobená aspoň jednou mutáciou, ktorá nie je mutáciou triedy I. Mutácie triedy I sú mutácie, ktorých výsledkom je, že sa nevytvára proteín CFTR.

Cystická fibróza je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Alyftrek 12. novembra 2021 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na [webovej stránke](#) agentúry EMA.

Liek Alyftrek obsahuje liečivá deutivakaftor, tezakaftor a vanzakaftor.

Ako sa liek Alyftrek používa?

Výdaj lieku Alyftrek je viazaný na lekársky predpis. Liek majú predpisovať len zdravotnícki pracovníci, ktorí majú skúsenosti s liečbou cystickej fibrózy.

Liek Alyftrek je dostupný vo forme tabliet užívaných ústami jedenkrát denne s jedlom obsahujúcim tuk. Dávka závisí od telesnej hmotnosti pacienta. Dávku lieku Alyftrek možno bude potrebné znížiť, ak pacient užíva aj druh lieku nazývaný stredne silný alebo silný inhibítor CYP3A, napríklad určité antibiotiká alebo lieky na mykotické infekcie, pretože môžu ovplyvniť spôsob, akým liek Alyftrek účinkuje v tele.

Viac informácií o používaní lieku Alyftrek si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

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.

Akým spôsobom liek Alyftrek účinkuje?

Cystická fibróza je zapríčinená mutáciami génu CFTR. Tento gén vedie k tvorbe proteínu CFTR, ktorý pôsobí na povrchu buniek tak, že reguluje tvorbu hlienu v pľúcach a tráviacich šťiav v črevách. Mutácie znižujú počet proteínov CFTR na povrchu buniek alebo ovplyvňujú spôsob, akým proteín účinkuje, čo vedie k tomu, že hlien a tráviace tekutiny sú príliš husté, čo vedie k zablokovaniu, zápalu, zvýšenému riziku infekcií pľúc a slabému tráveniu a rastu.

Dve liečivá lieku Alyftrek, vanzakaftor a tezakaftor, zvyšujú počet proteínov CFTR na povrchu buniek, zatiaľ čo ďalšie liečivo, deutivakaftor, zlepšuje činnosť chybného proteínu CFTR. Vďaka týmto kombinovaným účinkom sú pľúcny hlien a tráviace šťavy redšie, čo pomáha zmierniť príznaky ochorenia.

Aké prínosy lieku Alyftrek boli preukázané v štúdiách?

Liek Alyftrek bol rovnako účinný ako iný liek Kaftrio pri zlepšovaní funkcie pľúc v dvoch hlavných štúdiách u ľudí vo veku 12 rokov a starších s cystickou fibrózou. Liek Kaftrio, ktorý obsahuje ivakaftor, tezakaftor a elexakaftor, sa vždy podáva spolu s liekom obsahujúcim ivakaftor samotný. Liek Kaftrio sa používa u ľudí s cystickou fibrózou spôsobenou aspoň jednou mutáciou, ktorá nie je mutáciou triedy I v géne *CFTR*.

V oboch štúdiách dostávali účastníci starší ako 12 rokov liek Kaftrio štyri týždne, a potom dostávali buď liek Alyftrek, alebo pokračovali v liečbe liekom Kaftrio. Hlavným meradlom účinnosti v oboch štúdiách bola zmena v ppFEV1, čo je maximálne množstvo vzduchu, ktoré osoba dokáže vydýchnuť za jednu sekundu v porovnaní s hodnotami priemerného človeka s podobnými charakteristikami (napríklad vekom, výškou a pohlavím). Normálna hodnota ppFEV1 je pri správnom fungovaní pľúc zvyčajne takmer 100 percentuálnych bodov.

Na prvej štúdii sa zúčastnilo 405 účastníkov s mutáciou *F508del* a s mutáciou s tzv. minimálnou funkciou. Mutácie s minimálnou funkciou neprodukujú (takmer) žiadny proteín CFTR alebo produkujú chybný proteín CFTR, ktorý nereaguje na modulátory CFTR. Po prvých štyroch týždňoch liečby liekom Kaftrio mali pacienti v štúdii priemernú hodnotu ppFEV1 na úrovni 67,1 percentuálneho bodu. Po 24 týždňoch liečby sa hodnota ppFEV1 zachovala v rovnakej výške u účastníkov, ktorí dostávali liek Alyftrek, aj u účastníkov, ktorí dostávali liek Kaftrio.

Do druhej štúdie bolo zaradených 573 účastníkov s mutáciou *F508del* a bez nej. Pacienti bez mutácie *F508del* mali aspoň jednu mutáciu, ktorá odpovedala na liečbu liekom Kaftrio. Po prvých štyroch týždňoch liečby liekom Kaftrio mali účastníci štúdie priemernú hodnotu ppFEV1 na úrovni 66,8 percentuálneho bodu. Po 24 týždňoch liečby sa hodnota ppFEV1 zachovala v rovnakej výške u účastníkov, ktorí dostávali liek Alyftrek, aj u účastníkov, ktorí dostávali liek Kaftrio.

Spoločnosť predložila aj údaje zo štúdie, na ktorej sa zúčastnilo 78 detí vo veku od 6 do 11 rokov s cystickou fibrózou spôsobenou aspoň jednou mutáciou reagujúcou na liečbu liekom Kaftrio. V štúdii sa neporovnával liek Alyftrek s iným liekom ani s placebo (zdanlivým liekom). Na základe údajov zo štúdie sa preukázalo, že liek Alyftrek účinkuje rovnakým spôsobom u detí vo veku od 6 do 11 rokov ako u starších detí a dospelých. Okrem toho účinok lieku Alyftrek na funkciu pľúc u detí vo veku 6 až 11 rokov bol vo všeobecnosti v súlade s účinkom pozorovaným u starších detí a dospelých v dvoch hlavných štúdiách.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Alyftrek?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Alyftrek a zoznam všetkých obmedzení sa nachádzajú v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Alyftrek (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú bolesť hlavy a hnačka. Niektoré vedľajšie účinky môžu byť závažné. Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Alyftrek (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu zo 100) sú zvýšená hladina pečeňových enzýmov, ktorá môže byť príznakom problémov s pečeňou.

Prečo bol liek Alyftrek povolený v EÚ?

Preukázalo sa, že liek Alyftrek je pri liečbe osôb s cystickou fibrózou aspoň taký účinný ako liek Kaftrio. Bezpečnostný profil lieku Alyftrek je podobný ako v prípade lieku Kaftrio. V súvislosti s liekom Alyftrek sa nezistili žiadne nové výhrady týkajúce sa bezpečnosti. K dispozícii sú však obmedzené údaje o dlhodobej bezpečnosti, najmä u detí. Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Alyftrek sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Alyftrek?

Spoločnosť, ktorá liek Alyftrek uvádza na trh, uskutoční štúdiu na základe registra pacientov s cieľom poskytnúť ďalšie údaje o bezpečnosti a účinnosti lieku Alyftrek u osôb s cystickou fibrózou spôsobenou aspoň jednou mutáciou, ktorá nie je mutáciou triedy I.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Alyftrek boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Alyftrek sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Alyftrek sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Alyftrek

Ďalšie informácie o lieku Alyftrek sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

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