



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/198546/2025
EMA/H/C/006382

Alyftrek (*devtivakaftor/tezakaftor/vanzakaftor*)

Pregled zdravila Alyftrek in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Alyftrek in za kaj se uporablja?

Alyftrek je zdravilo, ki se uporablja pri osebah, starih šest let in več, za zdravljenje cistične fibroze, tj. dedne bolezni, ki ima resne učinke na pljuča, prebavila in druge organe.

Cistično fibrozo lahko povzročijo različne mutacije (spremembe) gena, ki vsebuje navodila za tvorbo beljakovine, imenovane „regulator transmembranske prevodnosti pri cistični fibrozi“ (CFTR).

Mutacije v genu *CFTR* so razvrščene v pet različnih razredov (razred I do razred V) glede na težave, ki jih povzročajo pri tvorbi beljakovine CFTR. Zdravilo Alyftrek se uporablja pri ljudeh, pri katerih cistično fibrozo povzroča vsaj ena mutacija, ki ni mutacija razreda I. Mutacije razreda I so mutacije, zaradi katerih se beljakovina CFTR ne proizvaja.

Cistična fibroza je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Alyftrek 12. novembra 2021 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o zdravilih sirotah so na voljo na [spletni strani](#) agencije EMA.

Zdravilo Alyftrek vsebuje učinkovine devtivakaftor, tezakaftor in vanzakaftor.

Kako se zdravilo Alyftrek uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Alyftrek je le na recept. Predpišejo ga lahko samo zdravstveni delavci, ki imajo izkušnje z zdravljenjem cistične fibroze.

Zdravilo Alyftrek je na voljo v obliki tablet, ki se jemljejo peroralno enkrat na dan z živili, ki vsebujejo maščobo. Odmerek je odvisen od telesne mase bolnika. Odmerek zdravila Alyftrek je morda treba zmanjšati, če bolnik jemlje tudi vrsto zdravila, imenovano „zmeren ali močan zaviralec CYP3A“, kot so nekateri antibiotiki ali zdravila za zdravljenje glivičnih okužb, saj ti lahko vplivajo na način delovanja zdravila Alyftrek v telesu.

Za več informacij glede uporabe zdravila Alyftrek glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

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



Kako zdravilo Alyftrek deluje?

Cistično fibrozo povzročajo mutacije v genu CFTR. Ta gen povzroči nastajanje beljakovine CFTR, ki deluje na celično površino ter uravnava nastajanje sluzi v pljučih in prebavnih sokov v prebavilih. Mutacije zmanjšujejo količino beljakovin CFTR na celični površini ali vplivajo na način delovanja beljakovine, zato so sluz in prebavne tekočine pregosti, kar povzroči zaporo, vnetje, povečano tveganje za okužbe pljuč ter upočasnjeno prebavo in rast.

Dve od učinkovin v zdravilu Alyftrek, vanzakaftor in tezakaftor, povečata število beljakovin CFTR na celični površini, druga učinkovina devtivakaftor pa izboljša delovanje okvarjene beljakovine CFTR. S tem skupnim učinkovanjem se razredčijo sluz v pljučih in prebavni sokovi, s čimer se ublažijo simptomi bolezni.

Kakšne koristi zdravila Alyftrek so se pokazale v študijah?

Zdravilo Alyftrek je bilo pri izboljšanju delovanja pljuč v dveh glavnih študijah pri ljudeh s cistično fibrozo, starih 12 let in več, enako učinkovito kot drugo zdravilo Kaftrio. Zdravilo Kaftrio, ki vsebuje ivakaftor, tezakaftor in eleksakaftor, se vedno daje skupaj z zdravilom, ki vsebuje samo ivakaftor. Zdravilo Kaftrio se uporablja pri ljudeh s cistično fibrozo, ki je posledica vsaj ene mutacije, ki ni mutacija razreda I v genu *CFTR*.

V obeh študijah so se preizkušanci, starejši od 12 let, štiri tedne zdravili z zdravilom Kaftrio, nato pa so prejeli zdravilo Alyftrek ali nadaljnje zdravljenje z zdravilom Kaftrio. Glavno merilo učinkovitosti v obeh študijah je bila sprememba vrednosti ppFEV1, tj. največje količine zraka, ki jo oseba lahko izdihne v eni sekundi, v primerjavi z vrednostmi pri povprečni osebi s podobnimi značilnostmi (kot so starost, telesna višina in spol). Normalni ppFEV1 je običajno blizu 100 odstotnih točk, kadar pljuča pravilno delujejo.

V prvo študijo je bilo vključenih 405 preizkušancev z mutacijo *F508del* in mutacijo „minimalne funkcije“. Mutacije z minimalno funkcijo povzročijo (skoraj) odsotnost beljakovine CFTR ali okvarjene beljakovine CFTR, ki se ne odziva na modulatorje CFTR. Po prvih štirih tednih zdravljenja z zdravilom Kaftrio je povprečna vrednost ppFEV1 pri bolnikih v študiji znašala 67,1 odstotne točke. Po 24 tednih zdravljenja se je vrednost ppFEV1 ohranila tako pri udeležencih, ki so prejeli zdravilo Alyftrek, kot pri tistih, ki so prejeli zdravilo Kaftrio.

V drugo študijo je bilo vključenih 573 udeležencev z mutacijo *F508del* in brez nje. Bolniki brez mutacije *F508del* so imeli vsaj eno mutacijo, ki se je odzvala na zdravljenje z zdravilom Kaftrio. Po prvih štirih tednih zdravljenja z zdravilom Kaftrio so imeli udeleženci študije povprečno vrednost ppFEV1 v višini 66,8 odstotne točke. Po 24 tednih zdravljenja se je vrednost ppFEV1 ohranila tako pri udeležencih, ki so prejeli zdravilo Alyftrek, kot pri tistih, ki so prejeli zdravilo Kaftrio.

Podjetje je predstavilo tudi podatke iz študije, v katero je bilo vključenih 78 otrok, starih od 6 do 11 let, s cistično fibrozo, ki jo je povzročila vsaj ena mutacija, odzivna na zdravljenje z zdravilom Kaftrio. V tej študiji zdravila Alyftrek niso primerjali z nobenim drugim zdravilom ali placebom (zdravilom brez učinkovine). Podatki iz študije so pokazali, da zdravilo Alyftrek deluje enako pri otrocih, starih od 6 do 11 let, kot pri starejših otrocih in odraslih. Poleg tega je bil učinek zdravila Alyftrek na delovanje pljuč pri otrocih, starih od šest do 11 let, na splošno skladen z učinkom, opaženim pri starejših otrocih in odraslih v dveh glavnih študijah.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Alyftrek?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Alyftrek glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejša neželena učinka zdravila Alyftrek (ki se lahko pojavita pri več kot 1 od 10 bolnikov) sta glavobol in driska. Nekateri neželeni učinki so lahko resni. Najpogostejši neželeni učinek zdravila Alyftrek (ki se lahko pojavi pri največ 1 od 100 bolnikov) je povišanje jetrnih encimov, kar je lahko znak težav z jetri.

Zakaj je bilo zdravilo Alyftrek odobreno v EU?

Zdravilo Alyftrek se je pri zdravljenju cistične fibroze izkazalo za vsaj tako učinkovito kot zdravilo Kaftrio. Varnostni profil zdravila Alyftrek je podoben varnostnemu profilu zdravila Kaftrio. Pri zdravilu Alyftrek niso bili ugotovljeni nobeni novi varnostni pomisleki. Vendar pa so podatki o dolgoročni varnosti omejeni, zlasti pri otrocih. Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Alyftrek večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Alyftrek?

Podjetje, ki trži zdravilo Alyftrek, bo na podlagi registra bolnikov izvedlo študijo, s katero bo zagotovilo dodatne podatke o varnosti in učinkovitosti tega zdravila pri ljudeh s cistično fibrozo, ki je posledica vsaj ene mutacije, ki ni mutacija razreda I.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Alyftrek upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Alyftrek stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Alyftrek, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Alyftrek

Nadaljnje informacije za zdravilo Alyftrek so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/alyftrek.