



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/198547/2025
EMA/H/C/006382

Alyftrek (*deutivakaftor/tezakaftor/vanzakaftor*)

Sammanfattning av Alyftrek och varför det är godkänt inom EU

Vad är Alyftrek och vad används det för?

Alyftrek är ett läkemedel som ges till personer som är 6 år eller äldre för att behandla cystisk fibros, en ärftlig sjukdom som har allvarliga effekter på lungorna, matsmältningssystemet och andra organ.

Cystisk fibros kan orsakas av olika mutationer (förändringar) i en gen som innehåller instruktioner för att tillverka proteinet CFTR ("cystic fibrosis transmembrane conductance regulator").

Mutationer i *CFTR*-genen grupperas i fem olika klasser (klass I till klass V) utifrån deras påverkan på tillverkningen av CFTR-proteinet. Alyftrek ges till personer med cystisk fibros vars sjukdom orsakas av minst en icke-klass I-mutation. Klass I-mutationer leder till att inget CFTR-protein bildas.

Cystisk fibros är sällsynt och Alyftrek klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 12 november 2021. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på EMA:s [webbplats](#).

Alyftrek innehåller de aktiva substanserna deutivakaftor, tezakaftor och vanzakaftor.

Hur används Alyftrek?

Alyftrek är receptbelagt. Det ska endast förskrivas av hälso- och sjukvårdspersonal med erfarenhet av att behandla cystisk fibros.

Alyftrek finns som tabletter som tas genom munnen en gång om dagen tillsammans med livsmedel som innehåller fett. Dosen beror på patientens kroppsvikt. Dosen av Alyftrek kan behöva minskas om patienten samtidigt tar en typ av läkemedel som benämns "måttliga eller starka CYP3A-hämmare", till exempel vissa former av antibiotika eller läkemedel mot svampinfektioner, eftersom de kan påverka hur Alyftrek verkar i kroppen.

För mer information om hur du använder Alyftrek, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Alyftrek?

Cystisk fibros orsakas av mutationer i *CFTR*-genen. Denna gen påverkar tillverkningen av CFTR-protein, som verkar på cellernas yta för att reglera produktionen av slem i lungorna och magsafter i

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



magsäcken. Mutationerna minskar mängden CFTR-proteiner på cellernas yta eller påverkar hur proteinet verkar, vilket leder till att de utsöndringar som de slem- och magsaftsframställande cellerna bildar blir för tjocka och sätter sig i vägen, orsakar inflammation och innebär ökad risk för lunginfektioner och problem med matsmältningen och tillväxten.

Två av de aktiva substanserna i Alyftrek, vanzakaftor och tezakaftor, ökar antalet CFTR-proteiner på cellytan, medan den tredje, deutivakaftor, förbättrar aktiviteten hos det defekta CFTR-proteinet. Effekterna av detta är att lungsllemmet och magsafterna blir mindre tjocka, vilket hjälper till att lindra symtomen på sjukdomen.

Vilka fördelar med Alyftrek har visats i studierna?

Alyftrek var lika effektivt som ett annat läkemedel, Kaftrio, när det gällde att förbättra lungfunktionen i två huvudstudier på personer i åldern 12 år och äldre med cystisk fibros. Kaftrio, som innehåller ivakaftor, tezakaftor och elexakaftor, ges alltid tillsammans med ett läkemedel som innehåller enbart ivakaftor. Kaftrio ges till personer med cystisk fibros orsakad av minst en icke-klass I-mutation i *CFTR*-genen.

I båda studierna fick patienter över 12 års ålder behandling med Kaftrio i fyra veckor och därefter antingen Alyftrek eller fortsatt behandling med Kaftrio. Huvudeffektmåttet i båda studierna var förändringen i ppFEV1, som är den maximala mängd luft som en person kan andas ut på en sekund jämfört med värden från en genomsnittlig person med liknande egenskaper (t.ex. ålder, längd och kön). Normalt ppFEV1 ligger vanligtvis nära 100 procentenheter när lungorna fungerar som de ska.

I den första studien deltog 405 patienter med en *F508del*-mutation och en "minimalfunktionsmutation". Vid minimalfunktionsmutationer bildas (nästan) inget CFTR-protein eller ett defekt CFTR-protein som inte svarar på behandling med CFTR-modulatorer. Efter de första fyra veckornas behandling med Kaftrio hade patienterna i studien en genomsnittlig ppFEV1 på 67,1 procentenheter. Efter 24 veckors behandling konstaterades kvarstående effekt avseende ppFEV1 både hos de patienter som fick Alyftrek och hos de patienter som fick Kaftrio.

I den andra studien deltog 573 patienter med och utan *F508del*-mutation. De patienter som inte hade en *F508del*-mutation hade minst en mutation som svarade på behandling med Kaftrio. Efter de första fyra veckornas behandling med Kaftrio hade patienterna i studien en genomsnittlig ppFEV1 på 66,8 procentenheter. Efter 24 veckors behandling konstaterades kvarstående effekt avseende ppFEV1 både hos de patienter som fick Alyftrek och hos de patienter som fick Kaftrio.

Företaget lade också fram data från en studie på 78 barn i åldern 6–11 år med cystisk fibros orsakad av minst en mutation som svarade på behandling med Kaftrio. I studien jämfördes inte Alyftrek med något annat läkemedel eller placebo (översiktlig behandling). Data från studien visade att Alyftrek verkar på samma sätt hos barn i åldern 6–11 år som hos äldre barn och vuxna. Dessutom var Alyftreks effekt på lungfunktionen hos barn i åldern 6–11 år generellt sett förenlig med den som sågs hos äldre barn och vuxna i de två huvudstudierna.

Vilka är riskerna med Alyftrek?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Alyftrek finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Alyftrek (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är huvudvärk och diarré. Vissa biverkningar kan vara allvarliga. Den vanligaste allvarliga biverkningen som orsakas av Alyftrek (kan förekomma hos upp till 1 av 100 användare) är en ökning av leverenzymerna, vilket kan vara ett tecken på leverproblem.

Varför är Alyftrek godkänt i EU?

Alyftrek visade sig vara minst lika effektivt som Kaftrio för behandling av personer med cystisk fibros. Alyftreks säkerhetsprofil liknar Kaftrios säkerhetsprofil och inga nya säkerhetsproblem konstaterades med Alyftrek. Det finns dock begränsade data om den långsiktiga säkerheten, särskilt hos barn. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Alyftrek är större än riskerna och att Alyftrek kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Alyftrek?

Företaget som marknadsför Alyftrek kommer att utföra en studie baserad på ett patientregister för att tillhandahålla ytterligare data om Alyftreks säkerhet och effekt hos personer med cystisk fibros orsakad av minst en icke-klass I-mutation.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Alyftrek har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Alyftrek kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Alyftrek utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Alyftrek

Mer information om Alyftrek finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/alyftrek.