

Egnethetsvurdering

ID-nummer	ID2025_038
Handelsnavn (virkestoff)	Alyftrek (vanzakaftor/tezakaftor/deutivakaftor)
Virkningsmekanisme	Vanzakaftor og tezakaftor virker begge ved å øke mengden cystisk fibrose transmembran konduktansregulator (CFTR)-proteiner på celleoverflaten, mens deutivakaftor virker ved å øke aktiviteten til de defekte CFTR-proteinene. I sum fører dette til økt mengde og funksjon av CFTR-proteiner på celleoverflaten, som fører til økt CFTR-mediert kloridtransport (1).
Regulatorisk status	Anmodningen gjelder en kombinasjonsbehandling av tre legemidler, hvorav to er nye virkestoff, mens et er kjent. Legemidlet fikk markedsføringstillatelse (MT) i Europa 01.07.25 (1).
Aktuell indikasjon	Behandling av cystisk fibrose (CF) hos personer fra 6 års alder som har minst én mutasjon i cystisk fibrose transmembran konduktansregulator (CFTR)-genet som ikke er av klasse I (1).
Forventet dosering	I den kliniske studien fikk pasientenevanzakaftor (20 mg), tezakaftor (100 mg) og deutivakaftor (250 mg) som en to-tabletters kombinasjonsbehandling en gang daglig i 52 uker (2). Behandlingen er livslang.
Forslag	Anmodning om vurdering
Innsendt av	Vertex (leverandør)
Bakgrunn	CF er en multiorgansykdom som kan ha en rekke manifestasjoner. Pasienter har nedsatt CFTR funksjon, noe som bla uttrykkes ved nedsatt kloridtransport og dårligere lungefunksjon. Et av hovedmålene ved behandling av CF er å forhindre/utsette progresjon av sykdommen (3). I dag er Kaftrio (ivakaftor, tezakaftor, eleksakaftor), Kalydeco (ivakaftor), Symkevi (tezakaftor + ivakaftor) og Orkambi (lumakaftor + ivakaftor) innført i Nye Metoder til behandling av CF hos pasienter med minimum en F508del-mutasjoner (klasse II mutasjon), og visse klasse III og klasse V mutasjoner. Se metodesidene og preparatomtalene for mer informasjon. Den nye behandlingen (Alyftrek) er en trippelkombinasjon av et kjent virkestoff (tezakaftor) og to nye virkestoff (vanzakaftor og deutivakaftor). Den nye behandlingen er studert i to randomiserte, dobbeltblindete fase III-studier. Den nye behandlingen sammenlignes direkte med Kaftrio (ivakaftor, tezakaftor, eleksakaftor) + Kalydeco (ivakaftor) i begge de kliniske studiene (SKYLINE-studiene). Resultatene fra studiene er publisert og viser at vanzakaftor/tezakaftor/deutivakaftor <i>ikke er dårligere enn (non-inferior)</i> ivakaftor, tezakaftor, eleksakaftor, både med hensyn til effekt og sikkerhet (1, 3). Alyftrek doseres en gang daglig, mens Kaftrio + Kalydeco doseres to ganger daglig. Begge behandlingene tas av pasienten hjemme.
Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter	EMA har vurdert Alyftrek (vanzakaftor/tezakaftor/deutivakaftor) er <i>ikke dårligere enn (non-inferior)</i> Kaftrio (ivakaftor, tezakaftor, eleksakaftor) + Kalydeco (ivakaftor), både med hensyn til effekt og sikkerhet for den omsøkte indikasjonen.

Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)	EMA har vurdert at Alytrek er <i>non-inferior</i> til Kaftrio + Kalydeco. DMP har opplyst saken i egnethetsvurderingen, og vurderer at en metodevurdering i liten grad vil kunne tilføre ytterligere informasjon av betydning for beslutningstaker.
---	---

Kilder:

1. EMA/CHMP: [Alyftrek - SMOP](#)
2. [Vanzacaftor-tezacaftor-deutivacaftor versus elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor in individuals with cystic fibrosis aged 12 years and older \(SKYLINE Trials VX20-121-102 and VX20-121-103\): results from two randomised, active-controlled, phase 3 trials - PubMed](#)
3. [7.14 Cystisk fibrose - Helsebiblioteket](#)

Versjonslogg*

Dato	Hva
12.08.2025	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP
*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonordlyd. For informasjon om endringer, se Legemiddelsøk.no. Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.	