

## **Orkambi (Lumacaftorum/ Ivacaftorum) terapijas uzsākšanas un atcelšanas kritēriji cistiskās fibrozes pacientiem**

**Orkambi** ir zāles, ko lieto cistiskās fibrozes (CF) ārstēšanai no 2 gadu vecuma pacientiem ar ģenētisko mutāciju F508del/F508del.

CF pacientiem ar delF508/delF508 mutāciju ir samazināts CFTR olbaltumvielu kanālu skaits uz epitēlija šūnu virsmas, kas ietekmē hlora, nātrija jonu transportu un ūdens iziešanu caur šūnu membrānām.

**Orkambi** sastāvā esošā viela lumakaftors palielina CFTR olbaltumvielu kanālu skaitu uz šūnu virsmas, bet otrā aktīvā viela ivakaftors palielina šo kanālu aktivitāti. Rezultātā tiek aktivizēts jonu transports caur kanāliem, padarot sekrētus šķidrākus, kas ir galvenais iemesls šīs slimības patoģenēzē.

### **Orkambi lietošana**

#### **2-5 gadi:**

svars < 14 kg: 100 mg/125 mg granulas 2 x dienā p/o

svars > 14 kg: 150 mg/188 mg orālās granulas 2 x dienā p/o

#### **6-11 gadi:**

2 tabletes 2 x dienā p/o (katra tablete satur 100 mg/125 mg, t.i. 200/250 mg reizes deva)

#### **>12 gadi:**

2 tabletes 2 x dienā (katra tablete satur 200 mg/125 mg, t.i. 400 mg/250 mg reizes deva)

#### **Pieaugušie:**

2 tabletes 2 x dienā (katra tablete satur 200 mg/125 mg, t.i. 400 mg/250 mg reizes deva)

Zāles jālieto ar 12 stundu intervālu kopā ar taukus saturošu ēdienu.

### **Risks, lietojot Orkambi**

Visbiežāk novērotās **Orkambi** blakusparādības, kuras var skart 1 no 10 pacientiem, ir dispnoja, caureja un slikta dūša. nopietnas parādības ir aknu darbības traucējumi, piemēram, paaugstināts aknu enzīmu līmenis asinīs, holestātiskais hepatīts un aknu encefalopātija. Klīnisko pētījumu laikā nopietnas blakusparādības kopumā tika konstatētas vairāk nekā 1 pacientam no 200.

<b>Orkambi terapijas uzsākšanas indikācijas</b>	<b>Orkambi terapijas pārtraukšanas indikācijas</b>
<ul style="list-style-type: none"><li>• Cistiskā fibroze ar mutācijām F508del/F508del</li><li>• Augstāk minētais pacients vecumā no 2 gadiem</li><li>• Parakstīta piekrišanas veidlapa par terapijas efektivitātes (līdzestības) izvērtēšanu</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Novērotas komplikācijas (tiek izvērtētas individuāli)</li><li>• Pamatoti pierādījumi par līdzestības trūkumu</li></ul>

Atsauces:

1. [http://www.ema.europa.eu/docs/lv\\_LV/document\\_library/.../WC500197614.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/lv_LV/document_library/.../WC500197614.pdf) lumakaftors / ivakaftors. Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par Orkambi.
2. The New England Journal of Medicine (NEJM) 17<sup>th</sup> May 2015. Results on a new treatment combining ivacaftor (Kalydeco) with another compound called lumacaftor.
3. Vertex Pharmaceuticals scientists presented positive results from clinical studies evaluating Kalydeco (ivacaftor) and Orkambi (lumacaftor/ivacaftor) at the 39th European Cystic Fibrosis Society (ECFS) Conference June 8-11 in Basel, Switzerland.
4. <http://lungdiseasenews.com/2016/06/16/promising-results-for-kalydeco-ivacaftor-and-orkambi-lumacaftor-ivacaftor-in-cf-patients-presented-at-european-cf-conference/>
5. <http://www.cysticfibrosisnewstoday.com/orkambi-lumacaftor-ivacaftor-vertex/T>  
[http://www.ema.europa.eu/ Find medicine/Human medicines/European public assessment report](http://www.ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20report)
6. [http://www.ema.europa.eu/docs/lv\\_LV/document\\_library/.../WC500197614.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/lv_LV/document_library/.../WC500197614.pdf) – slēdz. Latv.
7. [www.ema.europa.eu/docs/lv\\_LV/document\\_library/.../WC500197614.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/lv_LV/document_library/.../WC500197614.pdf)