



Vertex Pharmaceuticals GmbH  
Part of Vertex Pharmaceuticals Incorporated  
Sonnenstr. 19  
80331 Munich  
Germany

## **TRIKAFTA® , הטיפול של חברת ורטקס לסיסטיק פיברוזיס (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor in combination with ivacaftor), אושר לרישום על ידי משרד הבריאות הישראלי - טיפול בחולים בני 12 ומעלה**

- בהתבסס על ההכללה בסל הבריאות, חולי סיסטיק פיברוזיס (CF) בישראל, הנושאים לפחות מוטציה אחת של *F508del* בגן ל-CFTR, יהיו זכאים למשטר הטיפול המשולב החדש
- בנוסף, משרד הבריאות הישראלי הרחיב את ההתוויה של SYMDEKO® (tezacaftor/ivacaftor) לחולי סיסטיק פיברוזיס (CF) מגיל 6 ומעלה שהם הומוזיגוטיים למוטציה *F508del* או הנושאים לפחות מוטציה אחת בגן ה-CFTR המגיבה ל- tezacaftor/ivacaftor

12 אפריל, 2021 – תאגיד התרופות ורטקס הודיע שמשרד הבריאות הישראלי אישר לרישום את TRIKAFTA® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor in combination with ivacaftor) המיועדת לטיפול בחולי סיסטיק פיברוזיס (CF) בני 12 ומעלה, הנושאים לפחות מוטציה אחת של *F508del* בגן ל-CFTR. בהתבסס על הענקת האישור וההחלטה מה- 10 בפברואר 2021, על ההכללה בסל הבריאות, TRIKAFTA® זמינה כעת בישראל לחולים המתאימים. החלטתו של משרד הבריאות כוללת גם הכללה של התוויות עתידיות לחולי CF מגיל שנתיים ומעלה.

בנוסף, משרד הבריאות העניק אישור להרחבת ההתוויה של SYMDEKO® (tezacaftor/ivacaftor), כך שתכלול גם טיפול בחולי סיסטיק פיברוזיס (CF) מגיל 6 ומעלה שהם הומוזיגוטיים למוטציה *F508del* או שהם נושאים לפחות מוטציה אחת בגן ה-CFTR המגיבה ל- tezacaftor/ivacaftor בהתבסס על תוצאות מחקרי *In-Vitro* ו/או ממצאים קליניים.

אישור הרישום של TRIKAFTA® הוענק בהתבסס על שני מחקרי פאזה 3 שהוכיחו שיפור משמעותי סטטיסטי וקליני בתפקודי הריאות (תוצא ראשוני primary endpoint), כמו כן הושגו כל התוצאים השניוניים (secondary endpoints) העיקריים בקרב המשתתפים במחקר, חולי CF בני 12 שנים ומעלה הומוזיגוטיים למוטציה *F508del* או הטרוזיגוטים למוטציה *F508del* ובאלל השני מוטציה עם תפקוד מינימלי של חלבון ה-CFTR. בשני המחקרים הטיפול נסבל היטב<sup>1,2</sup>.

"אנו שמחים ש- TRIKAFTA® קיבלה את הרישיון בישראל. בהתבסס על החלטת ההכללה בפברואר, ישראל היא המדינה הראשונה במזה"ת להגיש ציבורית את אפשרות הטיפול החדשה הזו, מסרה נוואל פיקוק, סגנית נשיא איזורי בתאגיד התרופות ורטקס במרכז-מזרח אירופה ובשווקי הפצה.

בישראל, לורטקס יש הסכם הפצה עם חברת מדיסון פארמה, אשר אחראית על השיווק וההפצה של פורטפוליו מוצרי ה- CF הנוכחי של ורטקס (ORKAMBI®, KALYDECO®, SYMDEKO® ו- TRIKAFTA®).

### אודות סיסטיק פיברוזיס (CF)

סיסטיק פיברוזיס (CF) היא מחלה גנטית נדירה מקצרת חיים הפוגעת בלמעלה מ-80,000 אנשים ברחבי העולם.<sup>3</sup> CF היא מחלה פרוגרסיבית רב-מערכתית הפוגעת בריאות, בכבד, במערכת העיכול, בסינוסים, בבלוטות הזיעה, בבלב ובמערכת הרבייה.<sup>5</sup> המחלה נגרמת בעקבות חלבון CFTR פגום או חסר כתוצאה ממוטציות בגן Cystic Fibrosis (CFTR) transmembrane conductance regulator (CFTR).<sup>6</sup> ילדים חייבים לרשת 2 גנים פגומים של CFTR – אחד מכל הורה – כדי לחלות ב-CF.<sup>7</sup> בעוד שיש סוגים שונים ורבים של מוטציות בגן CFTR שיכולות לגרום למחלה, לרוב החולים ב-CF יש לפחות מוטציה אחת של *F508del*.<sup>8</sup> המוטציות הללו, שניתנות לזיהוי על ידי בדיקה גנטית או בדיקת גנוטיפ, גורמות למחלה על ידי יצירת חלבון CFTR שאינם מתפקדים ו/או הנמצאים בכמות מעטה מדי על גבי שטח פני התא.<sup>6,7</sup> התפקוד הלקוי ו/או היעדר חלבון CFTR מוביל לזרימה חלשה של מלחים ומים אל התאים ומחוצה להם במספר איברים. בריאות, מצב זה יכול להוביל להפרשות צמיגיות ולליחה שאינה מפונית ויכולה לגרום לזיהומים כרוניים בריאות ולנזק מתקדם בריאות שמובילים בסופו של דבר למוות.<sup>6,7,9</sup> באירופה, גיל התמותה הממוצע של חולה CF הוא 29.<sup>4</sup>

### אודות TRIKAFTA® (ivacaftor/tezacaftor/ivacaftor and ivacaftor)

TRIKAFTA® פותחה לטיפול בסיסטיק פיברוזיס בחולים מגיל 12 ומעלה נושאים לפחות מוטציה אחת של *F508del* בגן ה-CFTR או מוטציה אחרת שמגיבה לטיפול ב-TRIKAFTA®. TRIKAFTA® פותחה כדי להגדיל את כמות חלבון *F508del*-CFTR ותפקודו על שטח פני התא. ההגשה לרישום של TRIKAFTA® בישראל נתמכה בתוצאות חיוביות של שני מחקרי פאזה 3 בקרב חולי CF בני 12 שנים ומעלה: מחקר פאזה 3 שנמשך 24 שבועות בהשתתפות 403 נסיינים בעלי מוטציה *F508del* אחת ומוטציה עם תפקוד מינימלי אחת (F/MF) ומחקר פאזה 3 שנמשך 4 שבועות בהשתתפות 107 נסיינים עם 2 מוטציות *F508del* (F/F).<sup>1,2</sup>

### אודות SYMDEKO® (tezacaftor/ivacaftor)

ישנן מוטציות שגורמות לכך שחלבון CFTR לא עובר עיבוד וקיפול תקינים בתא, ולרוב התוצאה היא שלא יימצא על פני השטח של התא. Symdeko® הינה תשלובת תרופתית המכילה 2 חומרים פעילים: Tezacaftor ו-Ivacaftor. Tezacaftor - פועל ישירות על החלבון עם המוטציה ומשפר את העיבוד התאי ואת השינוע שלו, ובכך מעלה את כמות ה-CFTR הפעיל בשטח פני התא (CFTR corrector). Ivacaftor, משרה הגברת מעבר יוני הכלוריד בתעלות על שטח פני התאים (CFTR potentiator). שילוב של שני החומרים הפעילים הנ"ל מביא להגברת הכמות והפעילות של חלבון CFTR על שטח פני התאים והגברת התעבורה של יוני כלוריד.

### אודות Vertex

Vertex היא חברת ביוטכנולוגיה עולמית שמשקיעה בחדשנות מדעית ליצירת תרופות טרנספורמטיביות לאנשים החולים במחלות קשות ומסכנות חיים. לחברה מספר תרופות מאושרות המטפלות בגורם למחלת סיסטיק פיברוזיס (CF) - מחלה גנטית נדירה ומסכנת חיים – וכן לחברה יש מספר תכניות קליניות ומחקרים ב-CF. מעבר ל-CF, ל-Vertex יש פייפליין חזק של מולקולות לטיפול במחלות קשות אחרות, כאשר יש לחברה תובנה עמוקה לביולוגיה אנושית, כולל כאב, מחסור באלפא 1-אנטי-טריפסין ומחלות כליה בתיווך APOL1. בנוסף, ל-Vertex יש פייפליין שמתפתח במהירות של טיפולים גנטיים ותאיים למחלות כמו אנמיה חרמשית, בטלסמיה, ניוון שרירים דושן וסוכרת מסוג 1.

המטה העולמי של Vertex, שנוסדה בשנת 1989, נמצא בקיימברידג', מסצ'וסטס, ברובע החדשנות של בוסטון והמטה הבינלאומי של החברה נמצא בלונדון, עם משרד אזורי למרכז ומזרח אירופה ושווקי הפצה במינכן. בנוסף, לחברה אתרי מחקר ופיתוח ומשרדים בצפון

אמריקה, אירופה, אוסטרליה ואמריקה הלטינית. Vertex נחשבת לאחד המקומות הטובים ביותר לעבוד בהם בתעשיית הפארמה, כולל נוכחות במשך 11 שנים ברציפות ברשימת המעסיקים המובילים של מגזין Science, והמקום הטוב ביותר לעבוד בשוויון LGBTQ כפי שעלה בקמפיין זכויות האדם.

### **Press contact**

Vertex Pharmaceuticals (Germany) GmbH  
Steffen Fritzsche  
Director Corporate Communications Central and Eastern Europe & Distributor Markets  
E-mail: [steffen\\_fritzsche@vrtx.com](mailto:steffen_fritzsche@vrtx.com)

### **Local media contact:**

Medison Pharma Ltd.  
Inbal Chen  
External Affairs Director  
Phone: +972 3 9250 330  
Mobile: +972 54 4400784  
E-mail: [inbalc@medison.co.il](mailto:inbalc@medison.co.il)

### **References**

- <sup>1</sup> Middleton PG, Mall MA, Drevinek P, et al. Elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor for cystic fibrosis with a single Phe508del allele. N Engl J Med. 2019;381(19):1809–19.
- <sup>2</sup> Heijerman HGM, et al. Lancet. 2019;394(10212):1940–8.
- <sup>3</sup> J.P. Morgan Healthcare Conference, Presentation Reshma Kewalramani, January 2021.
- <sup>4</sup> European Cystic Fibrosis Society Patient Registry, Annual Data Report 2018. Available online at: [https://www.ecfs.eu/sites/default/files/general-content-files/working-groups/ecfs-patient-registry/ECFSPR\\_Report\\_2018\\_v1.4.pdf](https://www.ecfs.eu/sites/default/files/general-content-files/working-groups/ecfs-patient-registry/ECFSPR_Report_2018_v1.4.pdf). Last accessed: November 2020.
- <sup>5</sup> Cystic Fibrosis Trust. How cystic fibrosis affects the body. Available online at: <https://www.cysticfibrosis.org.uk/what-is-cystic-fibrosis/how-does-cystic-fibrosis-affect-the-body>. Last accessed: August 2020.
- <sup>6</sup> Cystic Fibrosis Foundation. Basics of The CFTR Protein. Available online at: <https://www.cff.org/Research/Research-Into-the-Disease/Restore-CFTR-Function/Basics-of-the-CFTRProtein/>.
- <sup>7</sup> NHS choices. Cystic Fibrosis. Available online at: <https://www.nhs.uk/conditions/cystic-fibrosis/>.
- <sup>8</sup> Cystic Fibrosis Foundation. Types of CFTR Mutations. Available online at: <https://www.cff.org/What-is-CF/Genetics/Types-of-CFTR-Mutations/>. Last accessed: August 2020.
- <sup>9</sup> National Organization for Rare Disorders (NORD). Cystic Fibrosis. Available online at: <https://rarediseases.org/rare-diseases/cystic-fibrosis>. Last accessed: August 2020.