



Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de deutivacaftor, tezacaftor y vanzacaftor (Alyftrek®) para el tratamiento de la fibrosis quística (FQ) en personas a partir de 6 años de edad con al menos una mutación que no sea de Clase I en el gen regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística (CFTR).

Fecha de publicación: 30 de julio de 2026

¿Qué es deutivacaftor, tezacaftor y vanzacaftor y para qué se utiliza?

Alyftrek® es el nombre comercial de un medicamento cuyos principios activos son deutivacaftor, tezacaftor y vanzacaftor. El titular de la autorización de comercialización en la Unión Europea es Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited. En España, el laboratorio ofertante es Vertex Pharmaceuticals (Spain) S.L.

Alyftrek® es un medicamento que se utiliza a partir de los 6 años para tratar la fibrosis quística, una enfermedad hereditaria que afecta gravemente a los pulmones, el sistema digestivo y otros órganos.

La fibrosis quística puede estar causada por mutaciones (cambios) en el gen que contiene instrucciones para fabricar una proteína denominada «regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística» (CFTR, por sus siglas en inglés).

Las mutaciones en el gen CFTR se agrupan en cinco clases diferentes (clase I a clase V) en función de los problemas que causan producción de la proteína CFTR. Alyftrek® se utiliza en personas cuya fibrosis quística está causada por al menos una mutación que no es una mutación de clase I. Las mutaciones de clase I son mutaciones que dan lugar a que no se produzca ninguna proteína CFTR.

La fibrosis quística es una enfermedad «rara», y Alyftrek® fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 12 de noviembre de 2021.

¿Cómo funciona deutivacaftor, tezacaftor y vanzacaftor?

La fibrosis quística está causada por mutaciones en el gen CFTR. Este gen permite que se fabrique la proteína CFTR, que actúa sobre la superficie de las células para regular la producción de secreciones mucosas en los pulmones y jugos digestivos en el intestino. Las mutaciones reducen el número de proteínas CFTR en la superficie celular o afectan al funcionamiento de la proteína, dando lugar a que la mucosidad y los fluidos digestivos sean demasiado espesos, lo que provoca obstrucciones, inflamación, aumento del riesgo de infecciones pulmonares, y digestión y crecimiento deficientes.

Dos de los principios activos de Alyftrek®, el vanzacaftor y el tezacaftor, aumentan el número de proteínas CFTR en la superficie celular, mientras que el otro, el deutivacaftor, mejora la actividad de la proteína CFTR defectuosa. Estas acciones se combinan para que el moco pulmonar y los jugos digestivos sean menos espesos, lo que ayuda a aliviar los síntomas de la enfermedad.

Información básica sobre la autorización

Alyftrek® está autorizado por un procedimiento centralizado, es decir, tiene una autorización válida concedida el 25 de abril de 2025 para toda la Unión Europea por la Comisión Europea tras la opinión favorable del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA)¹.

Alyftrek® fue tan eficaz como otro medicamento, Kaftrio®, para mejorar la función pulmonar en dos estudios principales realizados en personas mayores de 12 años con fibrosis quística. Kaftrio®, que contiene ivacaftor, tezacaftor y elexacaftor, se administra siempre junto con un medicamento que contiene ivacaftor solo. Kaftrio® se utiliza en personas con fibrosis quística causada por al menos una mutación que no es una mutación de clase I en el gen CFTR.

En ambos estudios, los participantes mayores de 12 años recibieron tratamiento con Kaftrio® durante cuatro semanas y, a continuación, se les administró Alyftrek® o continuaron el tratamiento con Kaftrio®. El criterio principal de valoración de la eficacia en ambos estudios fue la variación del ppFEV1, que es la cantidad máxima de aire que una persona puede espirar en un segundo, en comparación con los valores de una persona media con características similares (como edad, altura y sexo). Un ppVEF1 normal suele estar cerca de 100 puntos porcentuales cuando los pulmones funcionan correctamente.

En el primer estudio participaron 405 personas con una mutación F508del y una mutación de «función mínima». Las mutaciones funcionales mínimas producen (casi) ninguna proteína CFTR o una proteína CFTR defectuosa que no responde a los moduladores CFTR. Tras las primeras 4 semanas de tratamiento con Kaftrio®, los pacientes del estudio presentaron un promedio del ppVEF1 de 67,1 puntos porcentuales. Tras 24 semanas de tratamiento, el ppFEV1 se mantuvo tanto en los participantes a los que se administró Alyftrek® como en los que recibieron Kaftrio®.

En el segundo estudio participaron 573 participantes con y sin una mutación F508del. Los pacientes sin una mutación F508del presentaban al menos una mutación que respondía al tratamiento con Kaftrio®. Tras las primeras 4 semanas de tratamiento con Kaftrio®, los participantes en el estudio presentaron un promedio del ppVEF1 de 66,8 puntos porcentuales. Tras 24 semanas de tratamiento, el ppFEV1 se mantuvo tanto en los participantes a los que se administró Alyftrek® como en los que recibieron Kaftrio®.

La empresa también presentó datos de un estudio en el que participaron 78 niños de entre 6 y 11 años con fibrosis quística causada por al menos una mutación sensible al tratamiento con Kaftrio®. En el estudio no se comparó Alyftrek® con otro medicamento ni con un placebo (un tratamiento ficticio). Los datos del estudio demostraron que Alyftrek® actúa de la misma forma en niños de 6 a 11 años que en niños mayores y adultos. Además, el efecto de Alyftrek® sobre la función pulmonar en niños de 6 a 11 años de edad fue generalmente coherente con el observado en niños mayores y adultos en los dos estudios principales.

Conclusiones de la evaluación comparada de Alyftrek®

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) ha publicado el Informe de Posicionamiento Terapéutico (IPT) de Alyftrek®². En dicho informe se recoge en conclusiones que la FQ es una enfermedad multisistémica crónica y progresiva, de origen genético y

¹ Puede consultar la información en el siguiente enlace:

https://www.ema.europa.eu/es/documents/overview/alyftrek-epar-medicine-overview_es.pdf

² Puede consultar la información en el siguiente enlace:

<https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/2025/IPT-416-Alyftrek.pdf>

herencia autosómica recesiva. Está causada por mutaciones en el gen CFTR. Los tratamientos moduladores de CFTR tienen como objetivo abordar la causa subyacente de la enfermedad y han supuesto una mejora importante en la salud de los pacientes con fibrosis quística. En la actualidad, los moduladores de CFTR autorizados en la UE incluyen:

- ➔ IVA: indicado para pacientes, a partir de 1 mes de edad, con al menos una variante R117H (clase IV) o una de las siguientes variantes de clase III: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R.
- ➔ LUM/IVA: indicado para pacientes, a partir de 1 año, homocigóticos para la mutación F508del.
- ➔ TEZ/IVA: indicado para pacientes, a partir de los 6 años, que presentan al menos una mutación F508del, ya sea en homocigosis, o en combinación con una de las siguientes variantes: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G y 3849+10kbC→T.
- ➔ ELX/TEZ/IVA: indicado para pacientes, a partir de los 2 años, que presenten al menos una mutación que no sea de clase I.
- ➔ D-IVA/TEZ/VNZ: indicado para pacientes, a partir de los 6 años, que presenten al menos una mutación que no sea de clase I.

Las dos combinaciones triples (D-IVA/TEZ/VNZ y ELX/TEZ/IVA) abarcan un rango más amplio de mutaciones que las combinaciones dobles y representan las opciones de tratamiento más eficaces disponibles en la actualidad para la mayoría de los pacientes con FQ.

En los ensayos pivotaes, D-IVA/TEZ/VNZ demostró no inferioridad frente a ELX/TEZ/IVA en la mejoría del ppVEF1 y una reducción significativamente mayor en el cClis, con un perfil de seguridad similar entre ambos tratamientos. No obstante, la superioridad en la reducción del cClis no se ha traducido en un beneficio clínico demostrado en otras variables clínicamente relevantes, considerando los datos de su programa de desarrollo clínico.

Por tanto, D-IVA/TEZ/VNZ y ELX/TEZ/IVA deben considerarse alternativas terapéuticas de eficacia comparable en pacientes con al menos una mutación en CFTR que no sea de clase I. Ambas combinaciones triples han demostrado una eficacia superior a las dobles (TEZ/IVA y LUM/IVA). Las principales diferencias entre ambas combinaciones residen en la pauta posológica —una toma diaria en el caso de D-IVA/TEZ/VNZ frente a dos en ELX/TEZ/IVA— y en la extensión del soporte clínico en determinadas mutaciones raras, donde la evidencia de D-IVA/TEZ/VNZ se basa principalmente en la correlación funcional demostrada in vitro.

Decisión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

La Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos, en su sesión de 28 de abril de 2026, acordó proponer a la Dirección General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia la inclusión en la prestación farmacéutica del SNS y su financiación para el tratamiento de la fibrosis quística (FQ) en personas a partir de 6 años de edad con al menos una mutación que no sea de Clase I en el gen regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística (CFTR).

Información específica sobre restricciones o condiciones de financiación especiales

En el SNS se aprueba la financiación de la indicación autorizada para el tratamiento de la fibrosis quística (FQ) en personas a partir de 6 años de edad y peso igual o superior a 40 kg con al menos una mutación que no sea de Clase I en el gen regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística (CFTR), en la dosis de 125 MG/50 MG/10 MG y para el tratamiento de la fibrosis quística (FQ) en personas a partir de 6 años de edad y peso inferior a 40 kg con al menos una mutación que no sea de Clase I en el gen regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística (CFTR), en la dosis de 50 MG/20 MG/4 MG.

La financiación de Alyftrek® cuenta con el establecimiento de un acuerdo de precio/volumen anual a contar desde el mes de entrada en el Nomenclátor y su puesta en el mercado.

Además, se ha previsto un registro de seguimiento de pacientes en VALTERMED, para las indicaciones financiadas.

Más información

La situación de financiación de los medicamentos puede consultarse a través del buscador BIFIMED, accesible a través de la página del Ministerio de Sanidad, en el siguiente link:

<https://www.sanidad.gob.es/profesionales/medicamentos.do>

La búsqueda puede realizarse por principio activo, nombre del medicamento o código nacional.

Una vez se accede al medicamento en cuestión en el apartado "Más información" aparecen las indicaciones que están financiadas, las que no lo están, así como la fecha de alta en la financiación, entre otros.