

Informazione destinata ai pazienti

Legga attentamente il foglietto illustrativo prima di assumere il medicamento. Questo medicamento le è stato prescritto personalmente o è stato prescritto a suo figlio e quindi non deve essere consegnato ad altre persone, anche se i sintomi sono gli stessi. Il medicamento potrebbe nuocere alla loro salute.

Conservi il foglietto illustrativo per poterlo rileggere all'occorrenza.

Orkambi®

Vertex Pharmaceuticals (CH) GmbH

Che cos'è Orkambi e quando si usa?

Su prescrizione medica.

Orkambi contiene due principi attivi, lumacaftor e ivacaftor.

Orkambi (lumacaftor e ivacaftor) è un medicamento usato per il trattamento della fibrosi cistica (FC), in pazienti di età pari o superiore a 1 anno con una specifica alterazione genetica (chiamata mutazione *F508del*) che riguarda il gene per una proteina chiamata *regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica* (CFTR); questa proteina riveste un ruolo importante nella regolazione del flusso di muco nei polmoni. Le persone che hanno questa mutazione producono una proteina CFTR anomala. Le cellule contengono due copie del gene *CFTR*; Orkambi è usato nei pazienti in cui entrambe le copie sono interessate dalla mutazione *F508del*.

Lumacaftor e ivacaftor agiscono insieme per migliorare la funzione della proteina CFTR anomala. Lumacaftor aumenta la quantità di CFTR disponibile, mentre ivacaftor aiuta la proteina anomala a funzionare in modo più regolare.

Segua la prescrizione del suo medico.

Quando non si può assumere Orkambi?

Orkambi non può essere assunto

- se lei/suo figlio è allergico a lumacaftor, ivacaftor o ad una qualsiasi delle sostanze ausiliarie elencate al paragrafo «Cosa contiene Orkambi?».

Quando è richiesta prudenza nella somministrazione di Orkambi?

Avvertenze e misure precauzionali

Si rivolga al suo medico/al medico di suo figlio o al farmacista prima di prendere Orkambi o di dare Orkambi a suo figlio.

Orkambi deve essere utilizzato solo nei pazienti che hanno **due copie della mutazione *F508del*** nel gene *CFTR*.

Un peggioramento della funzione del fegato è stato osservato in pazienti con malattia grave del fegato. Il peggioramento della funzione del fegato può essere grave o fatale.

Informi il suo medico prima di prendere Orkambi se a lei/a suo figlio è stata diagnosticata una malattia al fegato o ai reni, perché potrebbe essere necessario modificare la dose di Orkambi.

In alcune persone trattate con Orkambi sono stati comunemente osservati valori anomali per il fegato negli esami del sangue. Informi il suo medico immediatamente se lei/suo figlio ha uno qualsiasi di questi sintomi, che potrebbero essere un segno di problemi al fegato:

- Dolore o fastidio nell'area dello stomaco in alto a destra (addominale)
- Ingiallimento della pelle o del bianco degli occhi
- Perdita dell'appetito
- Nausea o vomito
- Urine scure



- **Confusione**

Il medico prescriverà alcuni esami del sangue a lei/a suo figlio per verificare la funzione del fegato prima e durante il trattamento con Orkambi, in particolare nel primo anno.

Depressione (inclusi pensieri e comportamenti suicidari, alterazioni del comportamento, ansia e disturbi del sonno) è stata segnalata in pazienti che assumono Orkambi, con comparsa in genere entro i primi tre mesi di trattamento. Si rivolga immediatamente al medico se lei (o una persona che prende questo medicamento) manifesta uno qualsiasi dei seguenti sintomi: umore triste o alterato, ansia, sensazioni di disagio emotivo o pensieri di farsi del male o di uccidersi, alterazioni del comportamento e/o problemi del sonno, che possono essere segni di depressione.

Eventi respiratori, come **fiato corto, oppressione al torace o restringimento delle vie aeree**, sono stati osservati nei pazienti all'inizio del trattamento con Orkambi, specialmente in pazienti con funzione polmonare compromessa. Se lei/suo figlio ha una funzione polmonare compromessa, il suo medico potrebbe tenere lei/suo figlio sotto più attenta osservazione all'inizio del trattamento con Orkambi.

Un **aumento della pressione sanguigna** è stato osservato in alcuni pazienti trattati con Orkambi. Il suo medico potrebbe tenere sotto osservazione la sua pressione sanguigna/la pressione sanguigna di suo figlio durante il trattamento con Orkambi.

Un'**anomalia del cristallino** (cataratta), senza alcun effetto sulla vista, è stata osservata in alcuni bambini e adolescenti trattati con Orkambi e ivacaftor, un componente di Orkambi.

Il suo medico può eseguire alcuni esami degli occhi prima e durante il trattamento con Orkambi.

Orkambi non è raccomandato nei pazienti che si sono sottoposti a **trapianto d'organo**.

Bambini di età inferiore a 1 anno

Non è noto se Orkambi sia sicuro ed efficace nei bambini di età inferiore a 1 anno. Pertanto, Orkambi non deve essere usato nei bambini di età inferiore a 1 anno.

Interazioni con altri medicinali

Informi il suo medico o il suo farmacista nel caso in cui lei/suo figlio assuma, abbia recentemente assunto o potrebbe assumere altri medicinali.

In particolare, informi il suo medico se lei/suo figlio assume uno dei seguenti medicinali:

- Medicamenti antibiotici (usati per il trattamento delle infezioni da batteri), ad esempio: telitromicina, claritromicina, rifampicina, rifabutina, rifapentina, eritromicina
- Medicamenti anticonvulsivanti (usati per il trattamento di attacchi [crisi epilettiche]), ad esempio: fenobarbital, carbamazepina, fenitoina
- Benzodiazepine (usate per il trattamento di ansia o incapacità di addormentarsi [insonnia], agitazione, ecc.), ad esempio: midazolam, triazolam
- Medicamenti antimicotici (usati per il trattamento delle infezioni da funghi), ad esempio: fluconazolo, ketoconazolo, itraconazolo, posaconazolo, voriconazolo
- Immunosoppressori (usati dopo un trapianto d'organo), ad esempio: ciclosporina, everolimus, sirolimus, tacrolimus
- Medicamenti erboristici, ad esempio: erba di S. Giovanni (*Hypericum perforatum*)
- Medicamenti antiallergici (usati per il trattamento delle allergie e/o dell'asma), ad esempio: montelukast, fexofenadina
- Medicamenti antidepressivi (usati per il trattamento della depressione), ad esempio: citalopram, escitalopram, sertralina, bupropione
- Medicamenti antinfiammatori (usati per il trattamento dell'infiammazione), ad esempio: ibuprofene



- Medicamenti H2-antagonisti (usati per ridurre l'acidità di stomaco), ad esempio: ranitidina
- Glicosidi cardiaci (usati per il trattamento dell'insufficienza cardiaca congestizia da lieve a moderata [insufficienza cardiaca scompensata] e di un'anomalia del ritmo del cuore, chiamata fibrillazione atriale), ad esempio: digossina
- Anticoagulanti (usati per prevenire la formazione o l'aumento di volume dei coaguli nel sangue e nei vasi sanguigni), ad esempio: warfarin, dabigatran
- Medicamenti contraccettivi (usati per la prevenzione della gravidanza): contraccettivi orali, iniettabili e impiantabili e cerotti cutanei contraccettivi, che possono comprendere etinilestradiolo, noretindrone e altri progestinici. Non si deve fare affidamento su questi medicinali come metodo di contraccezione efficace in caso di somministrazione insieme a Orkambi.
- Medicamenti corticosteroidi (usati per il trattamento dell'infiammazione): metilprednisolone, prednisone
- Medicamenti inibitori della pompa protonica (usati per il trattamento della malattia da reflusso acido e delle ulcere): omeprazolo, esomeprazolo, lansoprazolo
- Ipoglicemizzanti orali (usati per la gestione del diabete di tipo 2): repaglinide

In pazienti trattati con Orkambi vi sono state segnalazioni di falsi positivi nei test di screening delle urine per il tetraidrocannabinolo (THC, un principio attivo della cannabis). Il medico potrebbe richiedere un altro test per verificare i risultati.

Effetti sulla capacità di condurre veicoli e sull'impiego di macchine

Nei pazienti trattati con ivacaftor, un componente di Orkambi, **sono stati segnalati capogiri**, che potrebbero influire sulla capacità di condurre veicoli o sull'impiego di macchine. Se avverte capogiri, non deve condurre veicoli né usare macchine fino alla scomparsa di questi sintomi.

Se un bambino manifesta capogiri durante il trattamento con Orkambi, si consiglia al bambino di non andare in bicicletta e di non svolgere altre attività che richiedono la sua piena attenzione, fino alla scomparsa dei sintomi.

Questo medicamento contiene meno di 1 mmol (23 mg) di sodio per dose, cioè essenzialmente 'senza sodio'.

Informi il suo medico o il suo farmacista/il medico o il farmacista di suo figlio nel caso in cui lei/suo figlio

- soffra di altre malattie
- soffra di allergie o
- assuma altri medicinali (anche se acquistati di sua iniziativa) o li applichi esternamente.

Si può assumere Orkambi durante la gravidanza o l'allattamento?

Se è in corso una gravidanza, se sospetta o sta pianificando una gravidanza, o se sta allattando con latte materno chiedi consiglio al suo medico prima di prendere questo medicamento. Sarebbe meglio evitare di usare Orkambi durante la gravidanza, se possibile; il suo medico la aiuterà a decidere la cosa migliore per lei e per il bambino.

Ivacaftor e lumacaftor passano nel latte materno. Se prevede di allattare con latte materno, chiedi consiglio al suo medico prima di prendere Orkambi. Il suo medico deciderà se raccomandare l'interruzione dell'allattamento con latte materno o l'interruzione della terapia con lumacaftor/ivacaftor. Il suo medico terrà in considerazione il beneficio dell'allattamento per il bambino e il beneficio della terapia con Orkambi per lei.

Come usare Orkambi?



Prenda/dia a suo figlio questo medicamento seguendo sempre esattamente le istruzioni del suo medico o del medico di suo figlio. Il medico stabilirà la dose corretta per lei/suo figlio. È necessario continuare a usare tutti gli altri medicinali, a meno che il medico non dica a lei/suo figlio di interromperne l'assunzione. Se ritiene che l'azione del medicamento sia troppo debole o troppo forte, o in caso di dubbi, ne parli al medico o al farmacista.

Dose raccomandata

La dose raccomandata per i pazienti di 1 anno di età e oltre è indicata nella tabella seguente. Orkambi deve essere assunto alla mattina e alla sera (a distanza di 12 ore), con cibi contenenti grassi.

Esistono diverse posologie di Orkambi per diverse fasce d'età. Controlli (di seguito) se a lei/suo figlio è stata data la dose giusta.

Età	Peso	Medicamento	Dose	
			Mattina	Sera
da 1 a < 2 anni	da 7 kg a < 9 kg *	Orkambi 75 mg/94 mg granulato in bustina	1 bustina	1 bustina
	da 9 kg a < 14 kg	Orkambi 100 mg/125 mg granulato in bustina	1 bustina	1 bustina
	≥14 kg	Orkambi 150 mg/188 mg granulato in bustina	1 bustina	1 bustina
da 2 a 5 anni	< 14 kg	Orkambi 100 mg/125 mg granulato in bustina	1 bustina	1 bustina
da 2 a 5 anni	≥14 kg	Orkambi 150 mg/188 mg granulato in bustina	1 bustina	1 bustina
da 6 a < 12 anni	-	Orkambi 100 mg/125 mg compresse	2 compresse	2 compresse
12 anni e oltre	-	Orkambi 200 mg/125 mg compresse	2 compresse	2 compresse

Se lei/suo figlio ha problemi moderati o gravi con la funzione del fegato, il medico potrebbe ridurre la dose di Orkambi, perché il suo fegato/il fegato di suo figlio non elimina Orkambi alla stessa velocità con cui viene eliminato nelle persone il cui fegato funziona normalmente.

- Moderati problemi di fegato:



- Compresse: la dose può essere ridotta a due compresse alla mattina e una compressa alla sera.
- Granulato: la dose può essere ridotta a giorni alterni. Due bustine in un giorno (alla mattina e alla sera) e una bustina il giorno successivo (solo alla mattina).
- Gravi problemi di fegato:
- Compresse: la dose può essere ridotta a una compressa ogni 12 ore.
- Granulato: la dose può essere ridotta a una bustina al giorno, o con minore frequenza.

Modo di somministrazione

Orkambi è per uso orale.

Compresse

Ingerisca le compresse intere. Non deve masticare, rompere o dissolvere le compresse.

Bustina

Ogni bustina è esclusivamente monouso. Può iniziare a somministrare Orkambi a suo figlio in qualsiasi giorno della settimana.

Come dare Orkambi granulato a suo figlio:

- Prenda la bustina di granulato tenendo la linea tratteggiata in alto.
- Scuota delicatamente la bustina per depositare il contenuto sul fondo.
- Strappi o tagli la bustina lungo la linea tratteggiata.
- Mescoli tutto il contenuto di una bustina con 5 ml di alimenti morbidi o liquidi idonei per l'età del bambino. Alimenti o liquidi devono essere a temperatura ambiente o inferiore. Alcuni esempi di alimenti morbidi o liquidi idonei comprendono purè di frutta o di verdura, yogurt, purè di mele, acqua, latte, latte materno, formula per lattanti o succo di frutta.
- Dopo aver miscelato il medicamento, lo dia immediatamente a suo figlio. Se questo non è possibile, glielo dia entro un'ora da quando ha miscelato il medicamento. Controlli che la miscela venga consumata immediatamente e per intero.
- Subito prima o subito dopo la somministrazione, dia a suo figlio un pasto o uno spuntino contenente grassi (alcuni esempi sono forniti di seguito).

Prendere Orkambi con un pasto o uno spuntino contenente grassi è importante per avere i giusti livelli di medicamento nell'organismo. I pasti e gli spuntini raccomandati nelle linee guida per la fibrosi cistica o i pasti raccomandati nelle linee guida nutrizionali standard contengono un'adeguata quantità di grassi. Esempi di pasti o spuntini contenenti grassi sono quelli preparati con burro o olio, o quelli contenenti uova. Esempi di altri cibi contenenti grassi:

- Formaggi, latte materno, formula per lattanti, latte intero, latticini a base di latte intero
- Carne, pesce azzurro
- Avocado, hummus, prodotti a base di soia (tofu)
- Barrette o bevande proteiche

Se lei/suo figlio prende più Orkambi di quanto deve

Chieda consiglio al suo medico o al suo farmacista. Se possibile, tenga con sé il suo medicamento/il medicamento di suo figlio e questo foglietto illustrativo. Potrebbero comparire effetti indesiderati, inclusi quelli indicati nel paragrafo «Quali effetti collaterali può avere Orkambi?» seguente.

Se lei dimentica di prendere Orkambi/di somministrare Orkambi a suo figlio

Prenda la dose dimenticata con un pasto o uno spuntino contenente grassi se sono passate meno di 6 ore dall'orario previsto. In caso contrario, aspetti fino alla successiva dose prevista normalmente per lei/suo



figlio. Non prenda/non dia a suo figlio una dose doppia per compensare la dimenticanza di una dose.

Pazienti anziani

La sicurezza e l'efficacia di Orkambi nei pazienti di 65 anni di età e oltre non sono state valutate.

Bambini

L'uso e la sicurezza di Orkambi nei bambini sotto 1 anno di età finora non sono stati esaminati. Il medicamento non deve essere quindi utilizzato in questa fascia di età.

Utilizzi questo medicamento seguendo sempre esattamente le istruzioni del medico. Se ritiene che l'azione del medicamento sia troppo debole o troppo forte, ne parli al suo medico.

Quali effetti collaterali può avere Orkambi?

Gli effetti collaterali segnalati con Orkambi e ivacaftor da solo (uno dei principi attivi di Orkambi) sono elencati di seguito e possono verificarsi con l'uso di Orkambi.

Gli effetti collaterali gravi per Orkambi comprendono livelli elevati di enzimi del fegato nel sangue, danno al fegato e peggioramento di una grave malattia del fegato preesistente. Il peggioramento della funzione del fegato può essere fatale. Questi effetti collaterali gravi hanno una frequenza non comune (possono riguardare fino a 1 persona su 100). Informi immediatamente il suo medico se lei/suo figlio manifesta sintomi significativi, come dolore o fastidio nell'area dello stomaco in alto a destra (addominale), ingiallimento della pelle o del bianco degli occhi, perdita dell'appetito, nausea o vomito, confusione o urine scure.

Depressione

I segni comprendono umore triste o alterato, ansia, sensazioni di disagio emotivo.

Sono stati segnalati casi di alterazioni del comportamento, soprattutto in bambini di età compresa tra 2 e 5 anni.

Contatti immediatamente il suo medico curante se lei (o un'altra persona che assume questo medicamento) manifesta uno di questi sintomi.

Effetti collaterali per Orkambi e per ivacaftor da solo (effetti collaterali per ivacaftor da solo contrassegnati da un asterisco):

Molto comune (riguarda più di 1 utilizzatore su 10)

- Tosse con espettorato
- Congestione nasale
- Fiato corto
- Mal di testa
- Dolore addominale (mal di stomaco)
- Diarrea
- Aumento dell'espettorato
- Nausea
- Raffreddore comune*
- Capogiro*
- Alterazione del tipo di batteri presenti nel muco*

Comune (riguarda da 1 a 10 utilizzatori su 100)

- Oppressione al torace
- Restrangimento delle vie aeree



- Congestione dei seni nasali*
- Naso chiuso o naso che cola
- Infezione delle vie respiratorie superiori
- Mal di gola
- Arrossamento della gola*
- Eruzione cutanea
- Flatulenza
- Aumento di un enzima nel sangue (creatininfosfochinasi ematica)
- Aumento dei livelli degli enzimi del fegato nelle analisi del sangue
- Vomito
- Mestruazioni (ciclo) irregolari o dolore mestruale
- Mal di orecchie, fastidio alle orecchie*
- Ronzio alle orecchie*
- Arrossamento all'interno dell'orecchio*
- Disturbo all'orecchio interno (con sensazione di vertigine o capogiro)*
- Massa in sede mammaria*

Non comune (riguarda da 1 a 10 utilizzatori su 1000)

- Mestruazioni anomale, inclusa l'assenza di mestruazioni o mestruazioni poco frequenti, oppure sanguinamento mestruale più frequente o più abbondante
- Aumento della pressione sanguigna
- Congestione dell'orecchio*
- Infiammazione della mammella*
- Ingrossamento della mammella negli uomini*
- Alterazioni del capezzolo o dolore al capezzolo*

* Effetti collaterali osservati per ivacaftor da solo.

Effetti collaterali aggiuntivi nei bambini

Gli effetti collaterali osservati nei bambini sono simili a quelli segnalati negli adulti e negli adolescenti. Tuttavia, l'aumento degli enzimi del fegato nel sangue è stato osservato con maggiore frequenza nei bambini piccoli rispetto agli adulti.

In alcuni bambini e adolescenti che hanno ricevuto questo trattamento è stata rilevata opacità del cristallino (cataratta), che tuttavia non ha avuto alcun effetto sulla capacità visiva.

Si rivolga immediatamente al suo medico, se nota cambiamenti insoliti in uno o entrambi gli occhi.

Se lei/suo figlio osserva effetti collaterali, si rivolga al suo medico o al suo farmacista, soprattutto se si tratta di effetti collaterali non descritti in questo foglietto illustrativo.

Di che altro occorre tener conto?

Stabilità

Il medicamento non dev'essere utilizzato oltre la data indicata con «EXP» sul contenitore.

Non getti alcun medicamento nell'acqua di scarico o nei rifiuti domestici. Chieda al suo farmacista come eliminare i medicinali che non utilizza più. Questo aiuterà a proteggere l'ambiente.

Istruzioni di conservazione



Compresse e granulato: non conservare a temperature superiori a 30°C.

Conservare fuori dalla vista e dalla portata dei bambini.

Ulteriori indicazioni

Il medico o il farmacista, che sono in possesso di un'informazione professionale dettagliata, possono darle ulteriori informazioni.

Cosa contiene Orkambi?

Compresse

Orkambi 100 mg/125 mg compresse rivestite con film sono compresse rosa di forma ovale (dimensioni 14 × 7,6 × 4,9 mm) con «1V125» stampato in inchiostro nero su un lato.

Orkambi 200 mg/125 mg compresse rivestite con film sono compresse rosa di forma ovale (dimensioni 14 × 8,4 × 6,8 mm) con «2V125» stampato in inchiostro nero su un lato.

Bustina

Orkambi 75 mg/94 mg granulato in bustina è granulato di colore da bianco a biancastro.

Orkambi 100 mg/125 mg granulato in bustina è granulato di colore da bianco a biancastro.

Orkambi 150 mg/188 mg granulato in bustina è granulato di colore da bianco a biancastro.

Principi attivi

Orkambi 100 mg/125 mg compresse rivestite con film:

Una compressa rivestita con film contiene 100 mg di lumacaftor e 125 mg di ivacaftor.

Orkambi 200 mg/125 mg compresse rivestite con film:

Una compressa rivestita con film contiene 200 mg di lumacaftor e 125 mg di ivacaftor.

Orkambi 75 mg/94 mg granulato:

Una bustina contiene 75 mg di lumacaftor e 94 mg di ivacaftor.

Orkambi 100 mg/125 mg granulato:

Una bustina contiene 100 mg di lumacaftor e 125 mg di ivacaftor.

Orkambi 150 mg/188 mg granulato:

Una bustina contiene 150 mg di lumacaftor e 188 mg di ivacaftor.

Sostanze ausiliarie

Compresse:

Nucleo della compressa: cellulosa microcristallina (E460), croscarmellosa sodica (E468), ipromellosa acetato succinato, povidone K30 (E1201), sodio laurilsolfato (E487), magnesio stearato (E470b).

Rivestimento della compressa: alcool polivinilico (E1203), titanio diossido (E171), macrogol 3350 (E1521), talco (E533b), carminio (E120), blu brillante FCF (E133), indigotina (E132).

Inchiostro di stampa: gomma lacca (E904), ossido di ferro nero (E172), glicole propilenico (E1502), ammonio idrossido (E527).

Granulato:

Cellulosa microcristallina (E460), croscarmellosa sodica (E468), ipromellosa acetato succinato, povidone K30 (E1201), sodio laurilsolfato (E487).

Numero dell'omologazione



65981, 67395 (Swissmedic)

Dove è ottenibile Orkambi? Quali confezioni sono disponibili?

In farmacia dietro presentazione della prescrizione medica non rinnovabile.

Orkambi è disponibile nelle seguenti confezioni:

Orkambi 100 mg/125 mg compresse rivestite con film:

- Confezione contenente 112 compresse rivestite con film (4 confezioni da 28 compresse rivestite con film).

Orkambi 200 mg/125 mg compresse rivestite con film:

- Confezione contenente 112 compresse rivestite con film (4 confezioni da 28 compresse rivestite con film).

Orkambi 75 mg/94 mg granulato:

- Confezione contenente 56 bustine (4 singole custodie da 14 bustine ciascuna)

Orkambi 100 mg/125 mg granulato:

- Confezione contenente 56 bustine (4 singole custodie da 14 bustine ciascuna)

Orkambi 150 mg/188 mg granulato:

- Confezione contenente 56 bustine (4 singole custodie da 14 bustine ciascuna)

Titolare dell'omologazione

Vertex Pharmaceuticals (CH) GmbH

6300 Zug

Questo foglietto illustrativo è stato controllato l'ultima volta nel giugno 2026 dall'autorità competente in materia di medicinali (Swissmedic).

