

COMUNICATO STAMPA

Nuovi antibiotici, terapia genica, somministrazione di enzimi pancreatici, trapianto di polmone offrono non solo un incremento dell'aspettativa ma anche il netto miglioramento della qualità della vita delle persone affette da fibrosi cistica. Con il Forum italiano sulla Fibrosi Cistica si è rivolta l'attenzione proprio alla sostenibilità economica dei nuovi farmaci, al trapianto di polmone e alla disponibilità di organi e al ruolo del paziente centrale nella Ricerca in fibrosi cistica.

Il II Forum sulla fibrosi cistica conclusosi a Fiuggi lo scorso 23 novembre ha acceso le speranze di pazienti e famiglie sia in merito alla commercializzazione in Italia dell'ivacaftor (Kalydeco, di [Vertex Pharmaceuticals](#)) sia per le nuove prospettive terapeutiche emerse da importanti studi condotti proprio in Italia.

L'attenzione del pubblico presente in sala e a casa è stata infatti catalizzata dal Prof. Luigi Maiuri, Direttore Scientifico Fondazione IERFC Milano, istituto fondato da LIFC nel 2007.

Il Prof. Maiuri ha illustrato come la combinazione di un farmaco e di un integratore alimentare, già in uso per altre indicazioni, è in grado di ripristinare la funzione di una proteina chiave nella genesi della fibrosi cistica, riducendo l'infiammazione polmonare dei pazienti. La scoperta costituisce un'innovazione concettuale molto importante in quanto dimostra che è possibile correggere il difetto di base con strategie di terapia diverse da quelle sino ad oggi percorse.

A seguire il Prof. Luca Pani, Direttore Generale di AIFA, ha illustrato l'iter di approvazione del Kalydeco in Italia, assicurando sul fatto che, dopo un complesso percorso, la procedura di definizione di prezzo e rimborsabilità è attualmente in corso.

Nel luglio 2012 infatti, dopo rigorose valutazioni, la Commissione Europea ha adottato l'opinione trasmessa dall'EMA in merito al Kalydeco e ne ha autorizzato l'immissione in commercio. Inizialmente solo per il trattamento della FC in pazienti di età pari o superiore a 6 anni con mutazione G551D, nel 2014 è stato esteso alle mutazioni di *gating* (classe III): G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N, E S549R, presenti in Europa in una bassa percentuale di pazienti.

Nel 2013 i clinici avevano fatto la richiesta di inserimento del Kalydeco in lista 648/96 ma la CTS (Commissione Tecnico Scientifica) di AIFA non aveva accolto la richiesta ed aveva indicato quale via preferenziale per l'accesso a questo farmaco il Fondo AIFA 5% (L. 326/2003).

A seguito dell'autorizzazione dell'UE, la casa farmaceutica Vertex ha presentato domanda di commercializzazione in Italia nel luglio 2014. Il Direttore AIFA ha confermato che il Kalydeco ha superato l'analisi tecnica e che si contratterà il prezzo con l'azienda Vertex per la successiva commercializzazione in Italia sottolineando che poiché è farmaco orfano, in base all'art. 12 del DL 158/2012, la procedura dovrà essere conclusa entro 100 giorni dalla presentazione della domanda. “

Il paziente, centrale nell'attività della LIFC e nel percorso del Forum, è stato il protagonista indiscusso della giornata di domenica quando, attraverso il [Patient Advisory Board](#) (PAB) si è discusso del ruolo del paziente nella ricerca.

Il PAB è composto da pazienti con fibrosi cistica e genitori che sono anche professionisti della ricerca biomedica ed è stato istituito con lo scopo di fare da interfaccia tra il mondo dei pazienti e delle loro famiglie e il mondo scientifico. Il malato cronico infatti, grazie alla sua esperienza di gestione della malattia, il più delle volte diventa “paziente esperto”, non più “oggetto” ma “soggetto” di cura e ricerca.

Condivisione di idee ed esperienze, confronto con esperti, discussioni: tutto questo è stato il Forum LIFC, pensato come uno spazio di partecipazione per ascoltare e dare voce ai pazienti e aprire una finestra sulla patologia, grazie anche alla diretta streaming trasmessa sul sito www.fibrosicistica.it e ampiamente seguita su tutto il territorio nazionale, nei paesi dell'UE, Stati Uniti, Australia, Brasile e India, pazienti e famigliari hanno rivolto via email domande ai relatori.

Ufficio Stampa LIFC:

Antonio Guarini: 3483840120

Serena Massucci: 3923305786