

## **Parere positivo da parte del CHMP per KAFTRIO® in combinazione con KALYDECO® per il trattamento della Fibrosi Cistica nei pazienti che presentano almeno una mutazione *F508del***

- *Se approvato, i pazienti di età pari o superiore a 12 anni con almeno una copia della mutazione *F508del* e una mutazione gating (F/G) oppure una mutazione con funzione residua (F/RF) potranno beneficiare del nuovo regime in tripla combinazione*

**ROMA** – 26 Marzo 2021 - Vertex Pharmaceuticals Incorporated (Nasdaq: VRTX) ha annunciato oggi che il Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) dell'EMA ha espresso parere positivo per l'estensione d'indicazione di KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) in regime di associazione con KALYDECO® (ivacaftor) per il trattamento dei pazienti affetti da Fibrosi Cistica (FC) di età pari o superiore a 12 anni che presentano almeno una mutazione *F508del* nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (*CFTR*), la mutazione più comune al mondo causa della FC<sup>1</sup>. Con il recepimento della Commissione Europea, la maggior parte dei pazienti affetti da FC in Europa saranno eleggibili per il trattamento.

Il parere positivo da parte del CHMP è stato supportato dai risultati di uno studio di FASE III (*Studio 445-104*) che ha valutato il regime in tripla combinazione su pazienti di età pari o superiore a 12 anni eterozigoti per la mutazione *F508del* nel gene *CFTR* e una mutazione gating (F/G) oppure una mutazione con funzione residua (F/RF)<sup>2</sup>. Lo studio è stato condotto da Vertex per integrare gli altri studi di FASE III che hanno mostrato risultati positivi per ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor in combinazione con ivacaftor in pazienti di età pari o superiore ai 12 anni che presentavano due mutazioni *F508del* (F/F) o una mutazione *F508del* e una mutazione con funzione minima (F/MF) ed ha mostrato miglioramenti statisticamente e clinicamente significativi negli endpoint primari e secondari, inclusa la funzione polmonare.

"Aver ricevuto oggi il parere positivo dal CHMP è un passo importante che ci rende entusiasti, perché consentirà di rendere disponibile Kaftrio® a molte più persone affette da FC. Potranno, infatti, beneficiarne tutti i pazienti con almeno una mutazione *F508del*, inclusi coloro che presentano una mutazione gating o con funzione residua, che prima non erano eleggibili per la terapia in combinazione tripla", ha dichiarato Nia Tatsis, Executive Vice President, Chief Regulatory and Quality Officer di Vertex.

In Europa, KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) in combinazione con KALYDECO® è attualmente autorizzato per il trattamento di pazienti affetti da FC di età pari o superiore ai 12 anni con un genotipo F/F o F/MF.

### La Fibrosi Cistica

La fibrosi cistica è una malattia genetica rara che colpisce circa 80.000 persone in tutto il mondo, di cui circa 6.000 in Italia, riducendone le aspettative di vita. La FC è una malattia multisistemica progressiva che colpisce polmoni, fegato, tratto gastrointestinale, naso, ghiandole sudoripare, pancreas e organi riproduttivi. È causata dall'assenza o dall'alterato funzionamento della proteina CFTR, a causa di alcune mutazioni del gene *CFTR*. Perché si sviluppi, è necessario ereditare due alleli del gene *CFTR* difettosi - uno da ciascun genitore. Sebbene ci siano diversi tipi di mutazioni del gene *CFTR* che possono causare la malattia, la stragrande maggioranza delle persone colpite da FC ha almeno una mutazione *F508del*. Queste mutazioni, che possono essere rilevate attraverso un test genetico, o test di genotipizzazione, causano la FC poiché, a livello della superficie cellulare, creano proteine CFTR non funzionanti e/o numericamente ridotte. La funzione difettosa e/o l'assenza della proteina CFTR impedisce il corretto flusso di sale e acqua dentro e fuori le cellule in alcuni organi. Nei polmoni, questo meccanismo porta all'accumulo di muco appiccicoso e viscoso che può causare infezioni polmonari croniche e danni polmonari progressivi in molti pazienti fino a provocarne la morte. L'età mediana al decesso è intorno ai 30 anni.

### **KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) in regime di combinazione con KALYDECO® (ivacaftor)**

KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) in regime di associazione con KALYDECO® (ivacaftor) è un farmaco sviluppato per il trattamento della Fibrosi Cistica in pazienti di età pari o superiore a 12 anni che presentano due mutazioni *F508del* (F/F) o una mutazione *F508del* e una mutazione con funzione minima (F/MF) nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR).

Il farmaco è stato studiato per intervenire sulla quantità e sulla funzione della proteina *F508del*-CFTR presente sulla superficie cellulare. L'attuale Autorizzazione all'Immissione in Commercio in Europa è stata supportata dai risultati positivi di due studi di FASE III su pazienti di età pari o superiore a 12 anni affetti da FC: uno studio di FASE III di 24 settimane su 403 pazienti che presentavano una mutazione *F508del* e una mutazione con funzione minima

(F/MF) ed uno studio di FASE III di 4 settimane su 107 pazienti che presentavano due mutazioni *F508del* (F/F).<sup>3</sup>

## **Vertex**

Vertex è una società globale di biotecnologie che investe nell'innovazione scientifica al fine di creare medicinali trasformativi per le persone con malattie gravi. L'azienda dispone di diversi medicinali approvati che trattano la causa alla base della fibrosi cistica (FC), una malattia genetica rara e potenzialmente fatale, nonché di diversi programmi clinici e di ricerca in corso sulla FC. Oltre alla FC, Vertex vanta una solida pipeline di farmaci sperimentali a piccole molecole per altre malattie gravi, per le quali possiede una visione approfondita della biologia umana causale, tra cui il dolore, il deficit di alfa-1 antitripsina e le malattie renali mediate da APOL1. Inoltre, Vertex dispone di una pipeline in rapida espansione di terapie genetiche e cellulari per malattie come l'anemia falciforme, la beta talassemia, la distrofia muscolare di Duchenne e il diabete mellito di tipo 1.

Fondata nel 1989 a Cambridge (Massachusetts, USA), oggi Vertex ha sede nell'Innovation District di Boston, mentre il suo quartier generale internazionale è a Londra. Inoltre, l'azienda possiede siti di ricerca e sviluppo e uffici commerciali in Nord America, Europa, Australia e America Latina. Vertex viene costantemente riconosciuta come una delle migliori aziende del settore in cui lavorare, ha fatto parte dell'elenco dei migliori datori di lavoro della rivista Science per 11 anni consecutivi ed è stata definita il posto migliore in cui lavorare in termini di uguaglianza LGBTQ dalla Human Rights Campaign.

## **Nota speciale relativa alle dichiarazioni previsionali**

Questo comunicato stampa contiene dichiarazioni previsionali come definite nel Private Securities Litigation Reform Act del 1995, incluse, senza alcuna limitazione, dichiarazioni rilasciate da Nia Tatsis e dichiarazioni riguardanti le nostre aspettative in merito ai potenziali benefici di KAFTRIO® in combinazione con KALYDECO®, l'approvazione dell'estensione di indicazione di KAFTRIO® in combinazione con KALYDECO® e la popolazione di persone eleggibili in Europa. Vertex ritiene che le dichiarazioni contenute in questo comunicato stampa siano accurate. Tali dichiarazioni rappresentano le convinzioni dell'azienda alla data della sua comunicazione e ci sono una serie di fattori che potrebbero generare eventi o risultati materialmente diversi da quanto dichiarato in questo documento. Tali fattori sono riconducibili

a rischi e incertezze tra i quali va considerato che i dati dei programmi di sviluppo dell'azienda potrebbero non supportare l'estensione d'indicazione di KAFTRIO® in combinazione con KALYDECO® in Europa, che la Commissione Europea non adotti tale opinione, e altri rischi elencati nell'Annual Report di Vertex nella sezione "Fattori di rischio" e nelle relazioni trimestrali depositate presso la Securities and Exchange Commission e disponibili sul sito di Vertex ([www.vrtx.com](http://www.vrtx.com)) e sul sito di SEC ([www.sec.gov](http://www.sec.gov)). Non si deve fare indebito affidamento su queste affermazioni o sui dati scientifici presentati. Vertex declina ogni obbligo di aggiornare le informazioni contenute in questo comunicato stampa non appena saranno disponibili nuove informazioni.

(VRTX-GEN)

**Vertex Pharmaceuticals Incorporated****Investors:**

[InvestorInfo@vrtx.com](mailto:InvestorInfo@vrtx.com)

or

617-961-7163

**Media:**

[mediainfo@vrtx.com](mailto:mediainfo@vrtx.com)

or

International: +44 20 3204 5275

or

U.S.: 617-341-6992

**Ufficio stampa Italia:**

Edoardo Iannone

[Edoardo.Iannone@vrtx.com](mailto:Edoardo.Iannone@vrtx.com) - +44 7568611476

Teodoro Lattanzio

[Teodoro.Lattanzio@omnicomprgroup.com](mailto:Teodoro.Lattanzio@omnicomprgroup.com) - +39 360.1074335

Viola Brambilla

[Viola.Brambilla@omnicomprgroup.com](mailto:Viola.Brambilla@omnicomprgroup.com) - +39 349 7075734

---

<sup>1</sup> <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/kaftrio-0>

<sup>2</sup> Vertex. Data on File Global CF EPI. 2021

<sup>3</sup> EMA. Kaftrio Riassunto delle caratteristiche del prodotto. Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited.

Disponibile al link:

[https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/kaftrio-epar-product-information\\_it.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/kaftrio-epar-product-information_it.pdf) (Ultimo accesso Marzo 2021)