

Vertex annuncia la rimborsabilità in Italia dell'estensione d'indicazione di KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) in regime di associazione con ivacaftor per il trattamento dei pazienti eleggibili affetti da Fibrosi Cistica (FC)

- Oltre 500 pazienti affetti da Fibrosi Cistica avranno accesso per la prima volta ad un trattamento in grado di agire sulla causa alla base della malattia –

Roma, 30 marzo 2022 - Vertex Pharmaceuticals annuncia oggi la pubblicazione in Gazzetta Ufficiale della rimborsabilità dell'estensione d'indicazione di KAFTRIO® 75 mg/50 mg/100 mg (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) in regime di associazione con ivacaftor 150 mg. Il regime in triplice combinazione è ora rimborsabile per i 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*).

“A partire da oggi un numero sempre maggiore di pazienti italiani potrà beneficiare di una terapia modulatrice della proteina CFTR in grado di agire sulle cause all'origine della Fibrosi Cistica e con il potenziale di rivoluzionare il trattamento della malattia”, **ha dichiarato Federico Viganò, Country Manager per Italia e Grecia di Vertex Pharmaceuticals.** “Grazie all'accordo per la rimborsabilità in Italia del nostro portfolio di farmaci per la Fibrosi Cistica sottoscritto con AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco) a luglio 2021, ai pazienti eleggibili sarà garantito l'accesso a queste terapie”.

KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) in un regime di associazione con ivacaftor è rimborsabile in Italia da luglio 2021 per i pazienti affetti da FC di età pari o superiore a 12 anni che presentano una copia della mutazione *F508del* e una mutazione di funzione minima nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (*CFTR*) o che sono omozigoti per la mutazione *F508del*. I farmaci per la FC di Vertex sono rimborsati in oltre 30 Paesi in tutto il mondo, inclusi Australia, Francia, Germania, Repubblica d'Irlanda, Paesi Bassi, Spagna, Svezia, Regno Unito e Stati Uniti.

La Fibrosi Cistica

La fibrosi cistica è una malattia genetica rara che colpisce circa 83.000 persone in tutto il mondo, di cui circa 6.000 in Italia. 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 – ed è possibile rilevarlo attraverso un test genetico. 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*. Le mutazioni del gene *CFTR* 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 ivacaftor

Nelle persone che presentano alcuni tipi di mutazioni nel gene *CFTR*, la proteina CFTR non viene normalmente processata o non si presenta correttamente ripiegata all'interno della cellula, e questo può impedirle di raggiungere la superficie cellulare e di funzionare correttamente. KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) in regime di associazione con (ivacaftor) è un medicinale orale sviluppato per aumentare la quantità e la funzione della proteina *CFTR* presente sulla superficie cellulare. Elexacaftor e tezacaftor lavorano insieme per aumentare la quantità di proteina matura sulla superficie cellulare legandosi a diversi siti della proteina *CFTR*. Ivacaftor, che è conosciuto come un potenziatore di CFTR, è progettato per facilitare la capacità delle proteine *CFTR* di trasportare sale e acqua attraverso la membrana cellulare.

L'azione combinata di ivacaftor, tezacaftor ed elexacaftor aiutano a idratare e rimuovere il muco dal tratto respiratorio.

KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) in combinazione con ivacaftor è approvato nell'Unione Europea per il trattamento della Fibrosi Cistica (FC) in pazienti a partire dai 6 anni di età che presentano almeno una copia della mutazione *F508del* nel gene *CFTR*.

Per avere informazioni complete sul prodotto, si prega di consultare il Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto (RCP) disponibile al sito www.ema.europa.eu.

KALYDECO® (ivacaftor)

Nelle persone che presentano alcuni tipi di mutazione nel gene *CFTR*, la proteina CFTR presente sulla superficie cellulare non funziona correttamente. Conosciuto come potenziatore di CFTR, ivacaftor è un medicinale orale sviluppato per mantenere aperte più a lungo le proteine CFTR sulla superficie cellulare per migliorare il trasporto di sale e acqua attraverso la membrana cellulare, che aiuta a idratare e liberare il muco dalle vie aeree. KALYDECO® è il primo medicinale a trattare la causa alla base della fibrosi cistica nelle persone con mutazioni specifiche nel gene *CFTR*.

Per avere informazioni complete sul prodotto, si prega di consultare il Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto (RCP) disponibile al sito www.ema.europa.eu.

Vertex Pharmaceuticals

Vertex è una società globale di biotecnologie che investe nell'innovazione scientifica al fine di sviluppare trattamenti trasformativi per le persone affette da patologie 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 l'anemia falciforme, la beta talassemia, le malattie renali mediate da APOL1, il dolore, il diabete di tipo 1, il deficit di alfa-1 antitripsina e la distrofia muscolare di Duchenne.

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: è rientrata per 12 anni consecutivi nella classifica dei ‘Top Employer’ stilata dalla rivista Science e nel 2021 è stata inclusa nella lista delle 100 Best Companies di Seramount (ex Working Mother Media).

(VRTX-GEN)

**Investitori di Vertex
Pharmaceuticals Incorporated:**

InvestorInfo@vrtx.com

[m](#)

o

617-961-7163

Media:

mediainfo@vrtx.com

[m](#)

o

Internazionale: +44 20 3204
5275

o

USA: 617-341-6992

Ufficio stampa Italia:

Edoardo Iannone

Edoardo.Iannone@vrtx.com - +44 7568611476

Teodoro Lattanzio

Teodoro.Lattanzio@omnicomprgroup.com - +39 360 1074335

Viola Brambilla

Viola.Brambilla@omnicomprgroup.com - +39 349 707573