

**- 45° Conferenza della *European Cystic Fibrosis Society (ECFS)* -  
Vertex ha presentato nuovi dati che dimostrano i benefici  
del trattamento precoce e a lungo termine con i modulatori CFTR**

- *I risultati ad interim di KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/ elexacaftor), in combinazione con ivacaftor, sulla sicurezza e l'efficacia real-world mostrano un miglioramento della funzionalità polmonare e una riduzione del rischio di esacerbazioni polmonari, di trapianto polmonare e di morte per le persone affette da Fibrosi Cistica(FC) -*
- *Nessuna perdita di funzionalità polmonare a due anni per le persone affette da FC (genotipi F/F o F/MF) trattate con KAFTRIO® in combinazione con ivacaftor, rispetto ai soggetti non trattati con un modulatore CFTR*
- *I risultati di uno studio di real-world a lungo termine mostrano i benefici di iniziare il trattamento con KALYDECO® (ivacaftor) in giovane età -*

**Roma, 13 giugno 2022** - Vertex Pharmaceuticals annuncia, oggi, la presentazione di cinque abstract con nuove evidenze di *real-world* relative al proprio portfolio di farmaci per la Fibrosi Cistica (FC). I dati sono stati presentati in occasione della 45° Conferenza sulla Fibrosi Cistica della *European Cystic Fibrosis Society (ECFS)* che si è appena conclusa a Rotterdam (Paesi Bassi).

Vertex ha presentato la prima analisi dei dati raccolti nel Registro dei pazienti della Fondazione statunitense per la FC (*CFRPR*) relativi a oltre 16.000 persone con FC trattate con KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) in combinazione con ivacaftor per una media di nove mesi. Questa prima analisi ad interim di uno studio in corso post-autorizzativo della durata di cinque anni (abstract WS22.05) ha dimostrato che il trattamento *real-world* con KAFTRIO® in combinazione con ivacaftor è associato a un miglioramento della funzionalità polmonare, a una riduzione del 77% del rischio di esacerbazioni polmonari rispetto al basale pre-KAFTRIO® in combinazione con ivacaftor, nonché a una riduzione dell'87% del rischio di trapianto polmonare e a una riduzione del 74% del rischio di morte, rispetto alla popolazione storica di pazienti del Registro della Fondazione statunitense per la FC del 2019. Non sono stati identificati nuovi segnali di sicurezza.

Vertex ha presentato anche dati che confrontano il tasso annuale di variazione della funzionalità polmonare in persone affette da FC di età pari o superiore a 12 anni con due mutazioni *F508del* (F/F) o una mutazione *F508del* e una mutazione di funzionalità minima

(F/MF) trattate con KAFTRIO® in combinazione con ivacaftor in studi pivotali e in uno studio di estensione in aperto, rispetto ai controlli storici provenienti dal CFFPR statunitense non trattati con modulatori CFTR ed appaiati usando propensity score (abstract WS22.04). I risultati mostrano che, in questa popolazione, KAFTRIO® in combinazione con ivacaftor non ha portato, in media, ad alcuna diminuzione nel ppFEV<sub>1</sub> nell'arco di due anni, a differenza delle riduzioni osservate nei controlli abbinati. L'analisi evidenzia che il trattamento con KAFTRIO® in combinazione con ivacaftor potrebbe avere un impatto sulla traiettoria di declino della malattia polmonare dovuta a FC.

Vertex ha, inoltre, presentato i dati di uno studio *real-world* a lungo termine che dimostra come l'inizio del trattamento con KALYDECO® (ivacaftor) in età precoce (6-10 anni) preservi la funzionalità polmonare in misura maggiore rispetto a quando KALYDECO® viene iniziato in età più avanzata (abstract WS17.03). Questi risultati dimostrano l'importanza del trattamento precoce con questo farmaco per i pazienti eleggibili.

"Questi studi di *real-world* e a lungo termine dimostrano i benefici potenziali della terapia con i modulatori CFTR e si aggiungono alle sostanziali evidenze sull'importanza di iniziare il trattamento sin dalla giovanissima età", **ha dichiarato Carmen Bozic, M.D., Executive Vicepresident, Global Medicines Development and Medical Affairs e Chief Medical Officer di Vertex.** "Stiamo perseguendo la nostra missione nell'area della FC con l'obiettivo di sviluppare opzioni terapeutiche innovative in grado di agire sulla causa alla base della malattia. Oggi possiamo dirci più vicini che mai al nostro traguardo finale, ovvero quello di garantire a tutti coloro che convivono con questa patologia trattamenti altamente efficaci".

### **Ulteriori abstract**

Oltre agli studi sopra citati, ulteriori abstract presentati dall'azienda alla Conferenza ECFS di quest'anno supportano l'uso a lungo termine e precoce dei modulatori CFTR:

- Abstract WS08.04: risultati di uno studio *real-world* in persone affette da FC con specifiche mutazioni di funzionalità residua, trattate con KALYDECO® (ivacaftor).

- Abstract WS17.02: risultati di uno studio esplorativo di fase 2 di estensione in aperto relativo a ORKAMBI® (lumacaftor/ivacaftor) in bambini con FC di età compresa tra 2 e 5 anni.

## **La Fibrosi Cistica**

La Fibrosi Cistica (FC) 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 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 KALYDECO® (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® 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](http://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*.

KALYDECO® è approvato nell'Unione Europea per il trattamento della fibrosi cistica (FC) in pazienti di età pari o superiore ai 4 mesi che hanno una mutazione R117H o una della seguenti mutazioni gating nel gene *CFTR*: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N or S549R.

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

### **ORKAMBI® (lumacaftor/ivacaftor)**

Nelle persone con due copie della mutazione *F508del*, la proteina CFTR non viene elaborata e trasportata normalmente all'interno della cellula, con il risultato che la proteina CFTR sulla superficie cellulare è scarsa o assente.

ORKAMBI® (lumacaftor/ivacaftor) è un farmaco orale che combina lumacaftor e ivacaftor. Lumacaftor è progettato per aumentare la quantità di proteina matura sulla superficie cellulare, colpendo il difetto di elaborazione e traffico della proteina F508del-CFTR. Ivacaftor, noto come potenziatore CFTR, è stato progettato per ripristinare la capacità delle proteine CFTR di trasportare sale e acqua attraverso la membrana cellulare. L'azione combinata di lumacaftor e ivacaftor aiuta a idratare e a liberare le vie respiratorie dal muco.

ORKAMBI® è approvato nell'Unione Europea per il trattamento della FC in pazienti di età pari o superiore ai 2 anni che presentano due copie della mutazione *F508del* (*F508del/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](http://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 e terapie cellulari e geniche per altre malattie gravi, per le quali possiede una conoscenza approfondita della biologia umana causale, tra cui l'anemia falciforme, la beta talassemia, le malattie renali mediate da APOL1, il dolore, il diabete 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: da 12 anni rientra nella classifica dei 'Top Employer' stilata dalla rivista Science, mentre nel 2021 è stata inclusa nella lista delle '100 Best Companies' di Seramount

(ex Working Mother Media). Per aggiornamenti sull'azienda e per sapere di più sulla storia di innovazione di Vertex, visitate il [sito](#) o seguite le pagine [Facebook](#), [Twitter](#), [LinkedIn](#), [YouTube](#) e [Instagram](#).

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

Questo comunicato stampa contiene dichiarazioni previsionali come definite nel Private Securities Litigation Reform Act del 1995, e successive modifiche, tra cui, a titolo esemplificativo, le dichiarazioni rilasciate dalla dott.ssa Bozic in questo comunicato stampa, le dichiarazioni relative ai potenziali benefici, alla sicurezza e all'efficacia dei nostri prodotti e i nostri piani per presentare i dati relativi al nostro portfolio di prodotti per la FC alla Conferenza sulla Fibrosi Cistica della *European Cystic Fibrosis Society* (ECFS), compresa un'analisi dei dati dello studio di sicurezza a cinque anni post-autorizzativo in corso relativo a KAFTRIO<sup>®</sup>, dati che confrontano il tasso annuale di variazione della funzionalità polmonare in alcuni individui affetti da FC e la nostra valutazione dell'impatto di tali dati, dati relativi all'inizio precoce di KALYDECO<sup>®</sup> e la nostra valutazione dell'impatto di tali dati, e ulteriori presentazioni scientifiche relative ai nostri prodotti per la FC commercializzati, comprese le aspettative relative agli abstract presentati alla Conferenza sulla Fibrosi Cistica della European Cystic Fibrosis Society (ECFS). Sebbene Vertex ritenga che le dichiarazioni previsionali contenute nel presente comunicato stampa siano accurate, queste dichiarazioni previsionali rappresentano le convinzioni dell'azienda solo alla data del presente comunicato stampa e vi sono numerosi rischi e incertezze che potrebbero far sì che gli eventi o i risultati effettivi differiscano materialmente da quelli espressi o impliciti in tali dichiarazioni previsionali. Tali rischi e incertezze includono, tra l'altro, il fatto che i dati dei programmi di sviluppo dell'azienda potrebbero non supportare la registrazione, l'approvazione o l'ulteriore sviluppo dei suoi composti a causa della sicurezza, dell'efficacia o di altri motivi, i rischi relativi all'approvazione e alla commercializzazione dei nostri farmaci e altri rischi elencati sotto il titolo "Fattori di rischio" nell'ultima relazione annuale di Vertex e nelle successive relazioni trimestrali depositate presso la Securities and Exchange Commission (SEC) e disponibili sul sito web dell'azienda all'indirizzo <https://www.vrtx.com/> e sul sito web della SEC all'indirizzo <https://www.sec.gov/>. Non si deve fare eccessivo affidamento su queste dichiarazioni o sui

dati scientifici presentati. Vertex declina qualsiasi obbligo di aggiornare le informazioni contenute nel presente comunicato stampa in caso di nuove informazioni disponibili.

(VRTX-GEN)

**Investitori di Vertex  
Pharmaceuticals Incorporated:**

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

o

617-961-7163

**Media:**

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

o

Internazionale: +44 20 3204 5275

o

USA: 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 707573