

**La Commissione Europea approva KAFTRIO®
(ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) in combinazione con ivacaftor
per il trattamento della Fibrosi Cistica nei pazienti di età pari o
superiore ai 12 anni con almeno una mutazione *F508del***

- 1. I pazienti di età pari o superiore a 12 anni con almeno una copia della mutazione F508del potranno beneficiare del nuovo regime in tripla combinazione indipendentemente dalle altre mutazioni*
- 2. I pazienti con una mutazione gating (F/G) o con funzione residua (F/RF) potranno beneficiare del nuovo regime in tripla combinazione*
- 3. Con questa nuova indicazione circa il 50% dei pazienti italiani sarà eleggibile per il regime in tripla combinazione*

ROMA – 28 Aprile 2021 – [Vertex Pharmaceuticals Incorporated](#) (Nasdaq: VRTX) ha annunciato oggi che la Commissione Europea (CE) ha approvato l'estensione d'indicazione per KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) in regime di associazione con 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*). Con questa approvazione, i pazienti affetti da FC di età pari o superiore a 12 anni che sono eterozigoti per la mutazione *F508del* nel gene *CFTR* e che presentano una mutazione con funzione residua (F/RF) o di gating (F/G), ovvero la maggior parte dei pazienti affetti da FC in Europa, potranno beneficiare del trattamento con KAFTRIO.

“L'autorizzazione all'estensione d'indicazione da parte della Commissione Europea è un traguardo importante che ci rende particolarmente orgogliosi perché consentirà di rendere disponibile KAFTRIO® a molte più persone affette da FC, compresi coloro che presentano una mutazione con funzione residua o di gating,” ha dichiarato Reshma Kewalramani, M.D., Chief Executive Officer e Presidente di Vertex. “Siamo impegnati a collaborare nel modo più efficace possibile con le autorità sanitarie e i governi locali per garantire che tutti i pazienti eleggibili possano avere accesso a questa terapia nel più breve tempo possibile”.

La tripla combinazione è già autorizzata per il trattamento di persone con FC di età pari o superiore a 12 anni che presentano almeno una copia della mutazione *F508del* nel gene *CFTR*, indipendentemente dall'altra mutazione, sia negli Stati Uniti che in Australia, dove la terapia è commercializzata con il marchio TRIKAFTA® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor e ivacaftor).

“Negli studi clinici la combinazione di ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor con ivacaftor ha mostrato risultati positivi in soggetti affetti da FC di età pari o superiore a 12 anni con almeno una copia della mutazione più comune al mondo causa della FC (*F508del*). Sono stati, inoltre, evidenziati importanti benefici clinici anche in quei soggetti che presentavano un’ulteriore mutazione di gating (F/G) o con funzione residua (F/RF). L’approvazione dell’estensione d’indicazione da parte della CE è una notizia molto positiva per la comunità della FC, perché d’ora in avanti un numero maggiore di pazienti avrà accesso a KAFTRIO®”, ha affermato il Dottor Peter Barry del *Manchester Adult Cystic Fibrosis Centre* presso la NHS Foundation Trust dell’Università di Manchester.

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.¹ 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 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 almeno una copia della mutazione *F508del* 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 estensione d'indicazione approvata in Europa è stata supportata dai risultati positivi di 3 studi globali di FASE III su pazienti di età pari o superiore a 12 anni affetti da FC: uno studio di FASE III di 24 settimane (Studio 445-102) su 403 soggetti che presentavano una mutazione *F508del* e una mutazione con funzione minima (F/MF); uno studio di FASE III di 4 settimane (Studio 445-103) su 107 soggetti che presentavano due mutazioni *F508del* (F/F) e uno studio FASE III (Studio 445-104) su 258 soggetti eterozigoti per la mutazione *F508del* e con una mutazione di gating (F/G) o con funzione residua (F/RF).²

Per informazioni complete sul farmaco, si prega di consultare il Riassunto delle caratteristiche del prodotto disponibile al sito www.ema.europa.eu.

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 Reshma Kewalramani e da Peter Barry e dichiarazioni riguardanti la popolazione di persone eleggibili in Europa e le nostre aspettative in merito ai tempi di accesso di KAFTRIO® in combinazione con ivacaftor 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) e sul sito di SEC (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

or

617-961-7163

Media:

mediainfo@vrtx.com

or

International: +44 20 3204 5275

or

U.S.: 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



Vertex Pharmaceuticals Incorporated
50 Northern Ave • Boston, MA 02210-1862
Tel. 617-341-6100
www.vrtx.com

News Release

Viola.Brambilla@omnicomprgroup.com - +39 349 7075734

¹ Vertex. Data on File. Global CF EPI. 2021.