



Fondazione Ricerca
Fibrosi Cistica - Onlus
italian cystic fibrosis research foundation

Dichiarazione di Gianna Puppo Fornaro, Marco Cipolli e Matteo Marzotto

LEGA ITALIANA FIBROSI CISTICA (LIFC), SOCIETÀ ITALIANA PER LO STUDIO DELLA FIBROSI CISTICA (SIFC) E FONDAZIONE RICERCA FIBROSI CISTICA (FFC), DA TEMPO UNITE IN UN TAVOLO CONGIUNTO, COMMENTANO CON SODDISFAZIONE L'IMMISSIONE DEL FARMACO KAFTRIO IN ITALIA A CARICO DEL SERVIZIO SANITARIO NAZIONALE.

"L'approvazione della rimborsabilità del nuovo farmaco innovativo per la fibrosi cistica segna il traguardo di quella rivoluzione terapeutica in atto da anni che sta dimostrando di migliorare la qualità e l'aspettativa di vita per le persone con fibrosi cistica. Per LIFC, SIFC e FFC questo è l'inizio di un nuovo cammino al fianco dei pazienti e dei Centri di Cura. L'introduzione di Kaftrio nel nostro Paese rappresenta una svolta importante. Ma la strada è ancora lunga. Il 30% dei malati è portatore di mutazioni genetiche per le quali non esiste ancora un farmaco efficace. Il nostro impegno è quello di lavorare nella direzione di una cura per tutti".

25 giugno 2021 – Si stava aspettando con ansia questo momento da diverso tempo. Ora è realtà. Il farmaco Kaftrio, assieme ad altri farmaci altamente efficaci per il trattamento della fibrosi cistica, sarà presto disponibile a carico del SSN per tutti i pazienti con un definito genotipo. Dopo un'istruttoria condotta dalla commissione Tecnico Scientifica e dal comitato Prezzi e Rimborso, il CdA dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ha approvato l'immissione del farmaco Kaftrio (una combinazione di tre principi attivi: ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) a carico del Servizio Sanitario Nazionale. Un risultato di portata storica che dimostra come le Istituzioni coinvolte abbiano recepito l'urgenza e la voce dei pazienti, giungendo alla conclusione dell'iter regolatorio nei tempi previsti, nonostante le priorità siano ancora dettate dalla pandemia.

Le tre realtà che in Italia si occupano con ruoli e funzioni distinti di fibrosi cistica e che da decenni nel nostro Paese sostengono l'attività di cura, di assistenza e di ricerca scientifica per il miglioramento della qualità e dell'aspettativa di vita dei malati di fibrosi cistica, **la Lega Italiana Fibrosi Cistica (LIFC), la Società Italiana per lo studio della Fibrosi Cistica (SIFC) e la Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica (FFC)**, da tempo unite in un tavolo congiunto, sottolineano l'importanza di questo momento.

Il farmaco Kaftrio è mirato a correggere le alterazioni della proteina CFTR prodotte dalla mutazione denominata *F508del*, la più comune tra le mutazioni che causano la fibrosi cistica. L'attuale indicazione di EMA si riferisce a coloro che, a partire dai 12 anni di età, hanno una doppia mutazione *F508del* e coloro che hanno una sola mutazione *F508del* e qualsiasi altra mutazione in accompagnamento. Il comunicato AIFA non chiarisce con quali tempi si arriverà attraverso step successivi a questa indicazione allargata del farmaco, che rimane il traguardo ottimale.

"La sfida non può dirsi ancora vinta finché tutti i malati non avranno la disponibilità ad una cura. E' stato raggiunto un traguardo importante, che stimola il nostro impegno verso progetti di ricerca di farmacovigilanza, di farmaci alternativi per efficacia e competitività, di strategie terapeutiche rivolte a tutti coloro che non sono ancora suscettibili degli attuali trattamenti." concludono i tre presidenti degli enti, Gianna Puppo Fornaro (LIFC), Marco Cipolli (SIFC) e Matteo Marzotto (FFC).

Contatti

LIFC

Presidente Gianna Puppo Fornaro
Tel. 06 44209167
comunicazione@fibrosicistica.it

SIFC

Presidente Marco Cipolli
segreteria@sifc.it

FFC

Presidente Matteo Marzotto
Tel. 045 8127026
comunicazione.ffc@aovr.veneto.it
Ufficio stampa – Patrizia Adami
Mob. +39 348 3820355
ufficiostampaclub@gmail.com