



**XXVII Congresso Italiano della
Fibrosi Cistica**

**XVII Congresso Nazionale della
Società Italiana per lo studio
della Fibrosi Cistica**

**Napoli,
20-23 ottobre 2021**

An Italian centre experience with Elexacaftor-Tezacaftor-Ivacaftor therapy in CF patients with advanced lung disease

Giulia Bischetti

Calogero Sathya Sciarrabba, Chiara Rosazza, Valeria
Daccò, Irene Borzani, Erica Carolina Nazzari,
Carla Colombo



Fondazione IRCCS Ca' Granda
Ospedale Maggiore Policlinico

Sistema Socio Sanitario



Regione
Lombardia

Presentazione dello studio

Studio **prospettico osservazionale** in pazienti affetti da fibrosi cistica

Età ≥ 12 anni

Mutazioni: omozigosi per F508del o eterozigosi per F508del e mutazione

mininal function

Accesso alla triplice terapia in regime **compassionevole**

Presentazione dello studio

Esiti valutati:

- **FEV1** a 6 e 12 mesi dall'inizio della terapia
- Concentrazione di **cloro** a 12 mesi dall'inizio della terapia
- **BMI** a 6 e 12 mesi dall'inizio della terapia
- **Riacutizzazioni, terapia antibiotica** ed iscrizione in **lista trapianto**
- **Test del cammino** a 12 mesi
- **Score RM** torace a 6 e 12 mesi dall'inizio della triplice terapia ¹

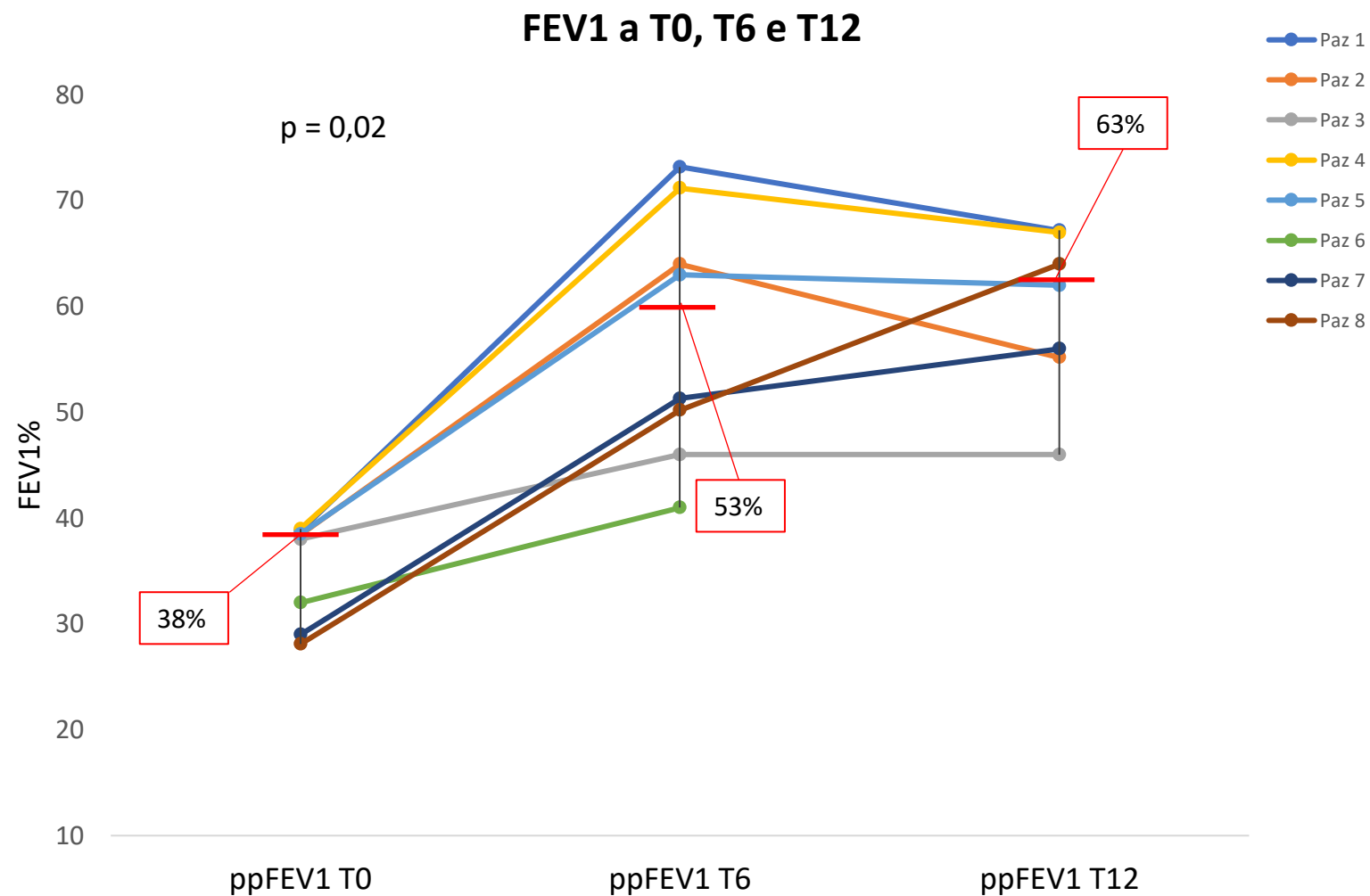
Caratteristiche della popolazione

Caratteristiche della popolazione (n=8)	
Età anni, Mediana (range)	25,2 (17.8;30.7)
Sesso F, n (%)	6 (75)
Genotipo, n (%)	F508del/F508del, 4 (50)
	F508del/MF, 4 (50)
Insufficienza pancreatica, n (%)	8 (100)
CFRD, n (%)	2 (25)
Epatopatia, n (%)	3 (37,5)
Ossigenoterapia, n (%)	0
NIV notturna, n (%)	2 (25)
In lista trapianto bipolmonare, n (%)	4 (50)
Terapia antibiotica EV continua, n (%)	5 (62,5)

Esiti valutati a T0	
BMI, Mediana (range)	19,4 (18.2;21.3)
Concentrazione di Cl ⁻ , Mediana (range)	93.3 mEq/L (76.7;110)
FEV1 %, Mediana (range)	38,2 (28.1;39)
Colonizzazione delle vie aeree, n (%)	PsA 6 (75)
	A. xylosoxidans 2 (25)
	NTM 2 (25)
	MRSA 1 (12,5)
	BC 0
Score RM torace, mediana (range)	22 (17;25)

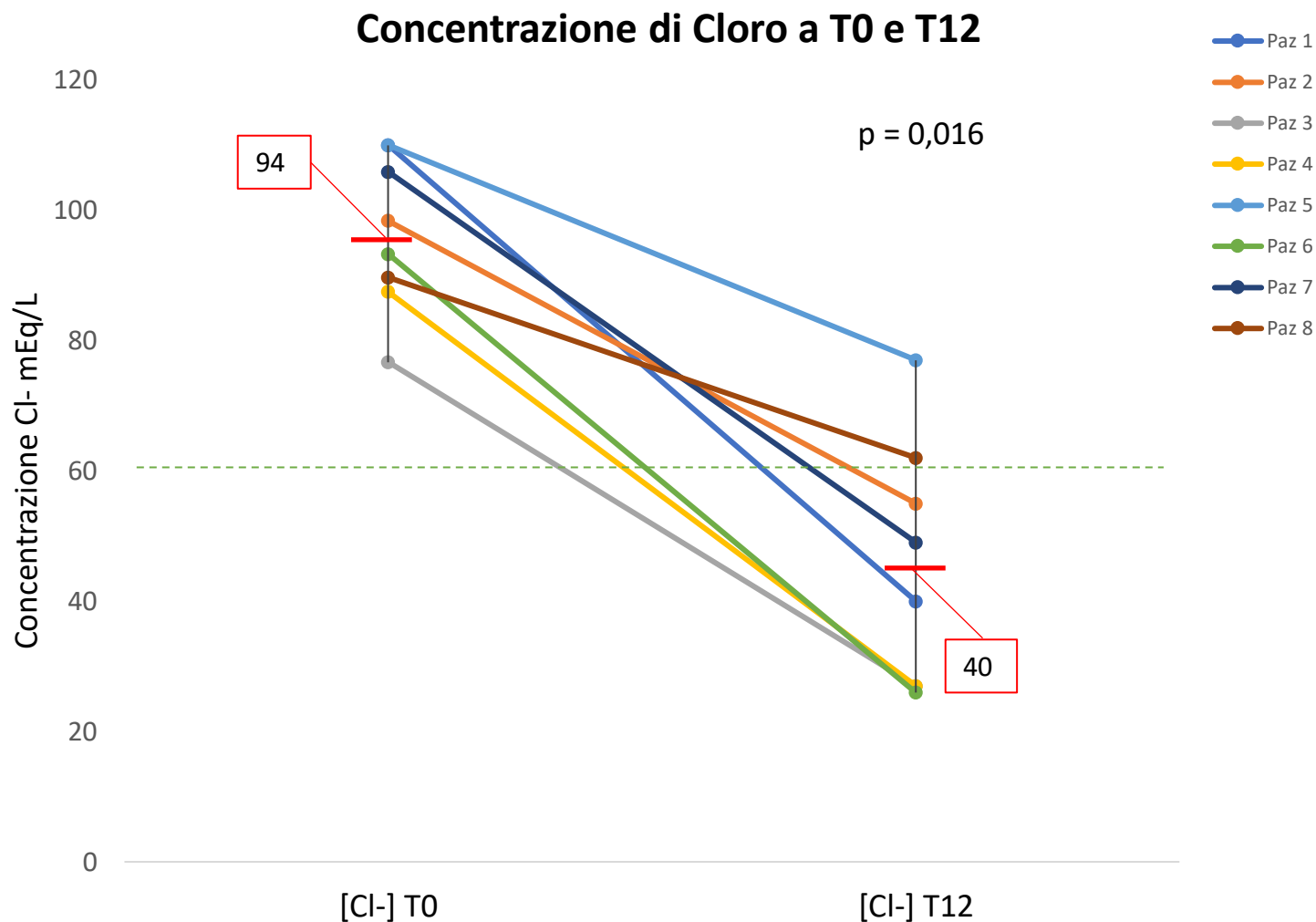
RISULTATI: FEV1

Aumento del **FEV1**
a **T6** 23.4% [range 8;34.4]
a **T12** 27% [range 8;35.9]



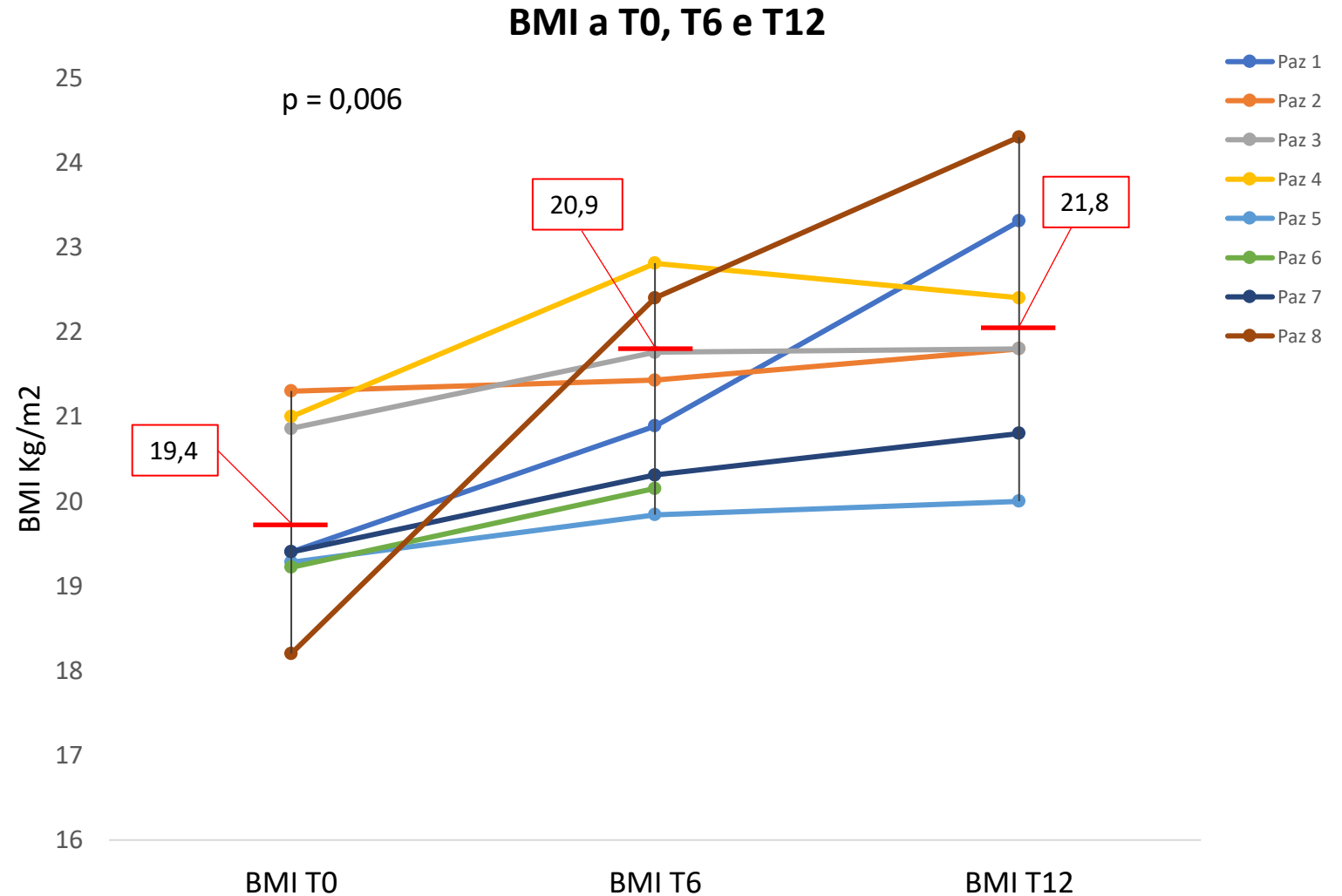
RISULTATI: Test del sudore

Riduzione della
concentrazione di **Cloro**
a **T12** di 52.4 [range 27.7;70]



RISULTATI: BMI

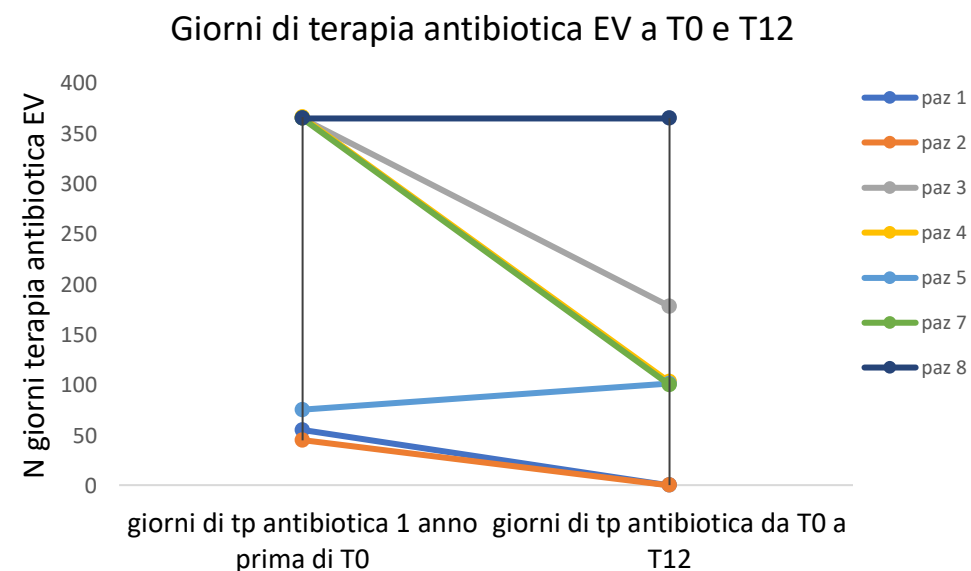
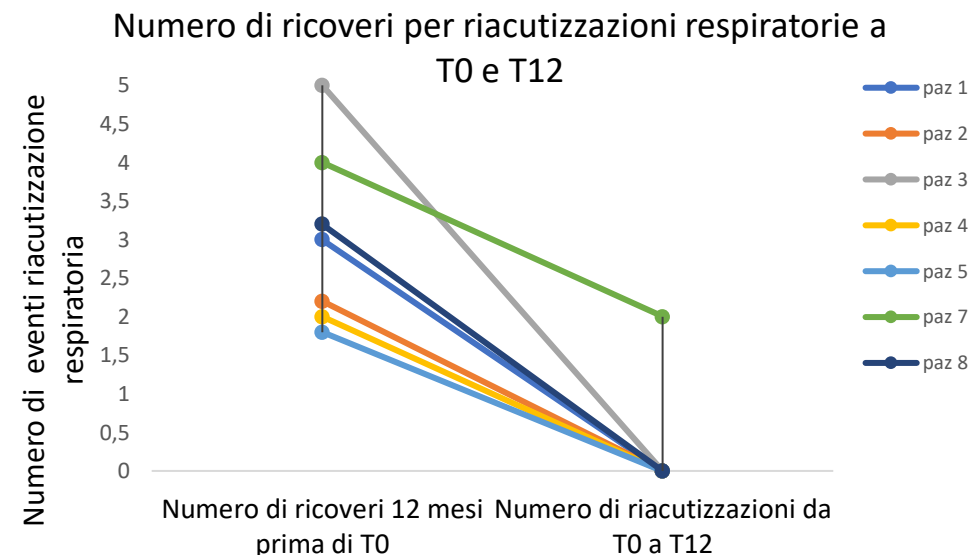
Aumento del **BMI**
a **T6** 0.92 [range 0.9;4.2]
a **T12** 1.4 [range 0.5;6.1]



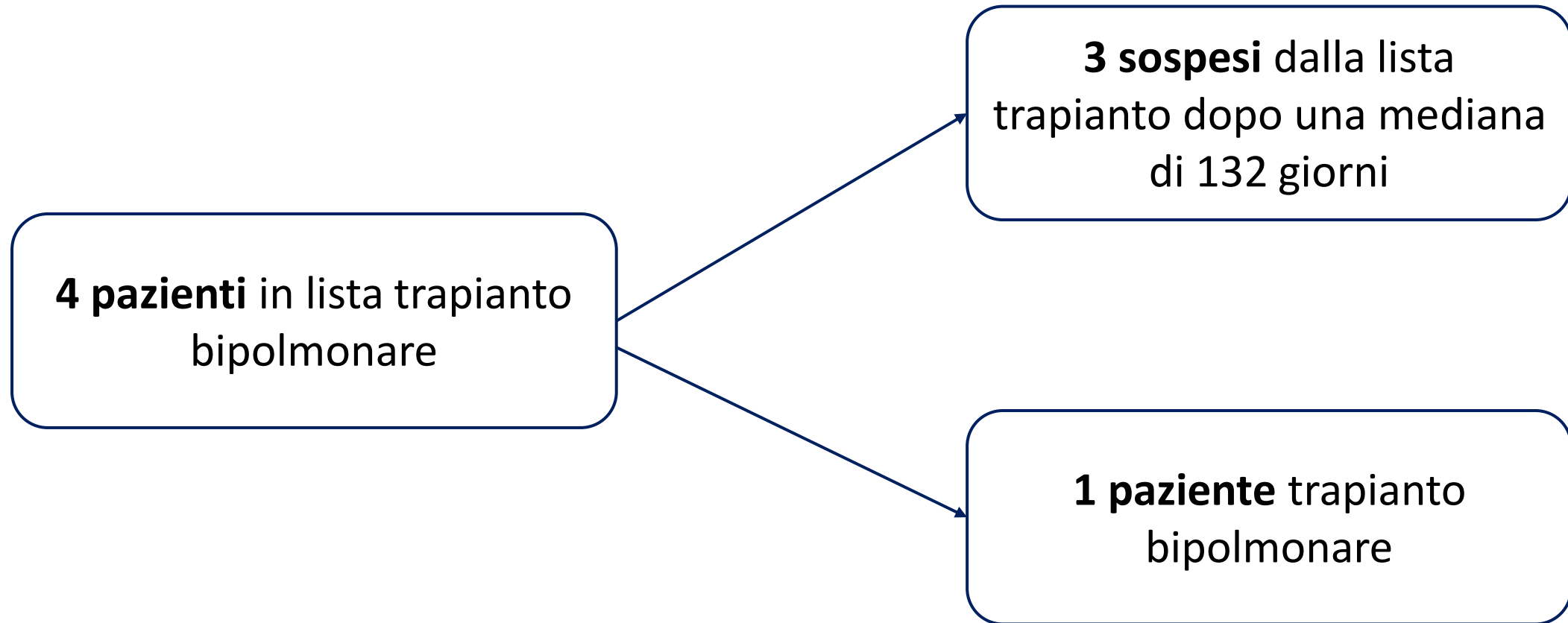
RISULTATI: Terapia antibiotica e riacutizzazioni

A 12 mesi **riduzione** del numero di ricoveri per riacutizzazioni respiratorie

A 12 mesi riduzione della necessità di terapia antibiotica:
4/5 pazienti hanno **sospeso** terapia antibiotica endovenosa continua



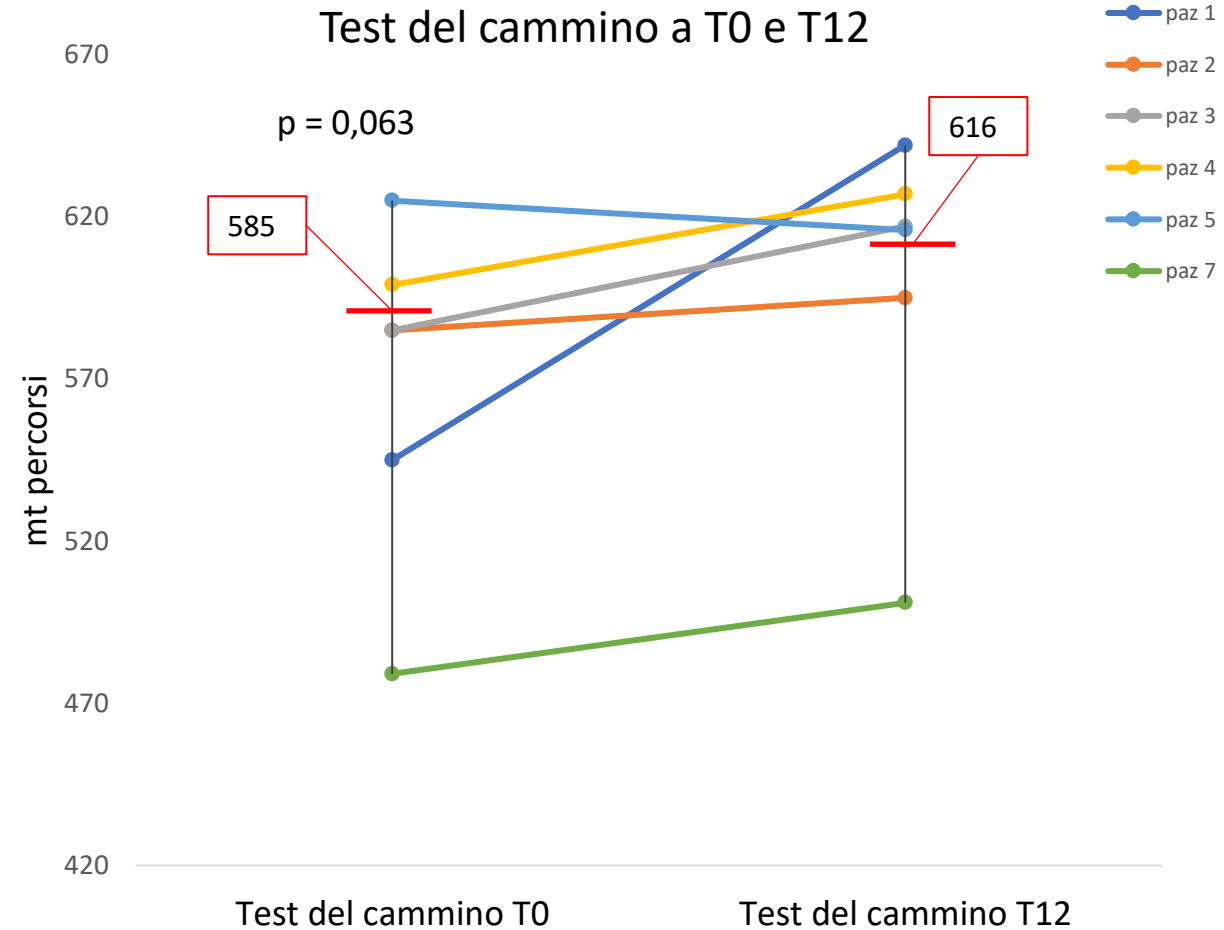
RISULTATI: Iscrizione in lista trapianto



RISULTATI: test del cammino

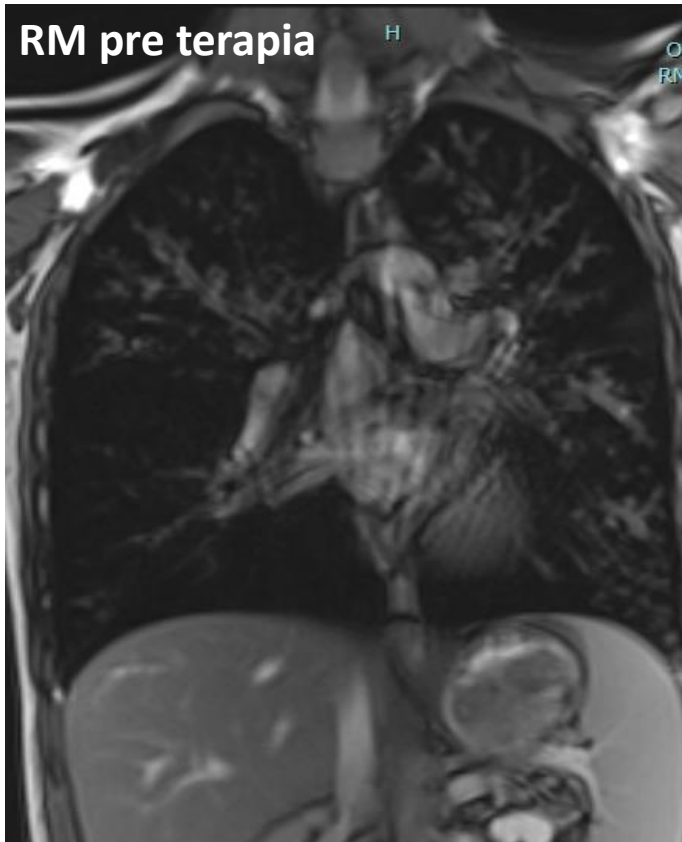
Aumento dei **metri percorsi** nel test del cammino
a **T12** aumento di 31 mt

	Test del cammino T0	Test del cammino T12
FC al termine, mediana (range)	155 (123;169)	148,5 (180;132)
SpO2 al termine, mediana (range)	95% (87;98)	97,5% (99;93)
Score Borg Dispnea, mediana (range)	3,5 (8;0,5)	0,75 (0,5;4)
Score Borg Fatica Muscolare, mediana (range)	2,5 (5;0,5)	2 (3;0,5)

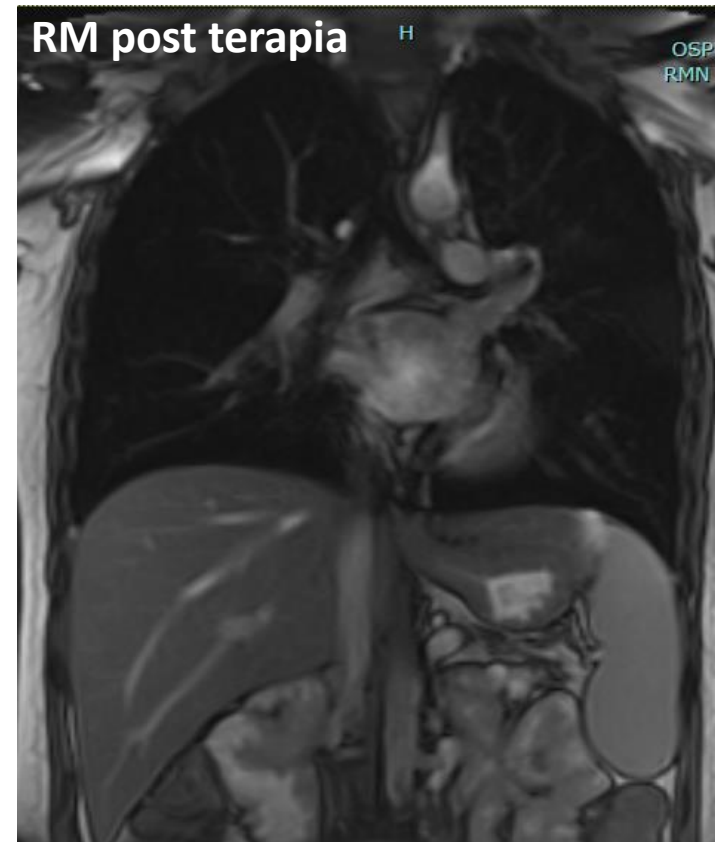


RISULTATI: Risonanza magnetica

Score 25



Score 11

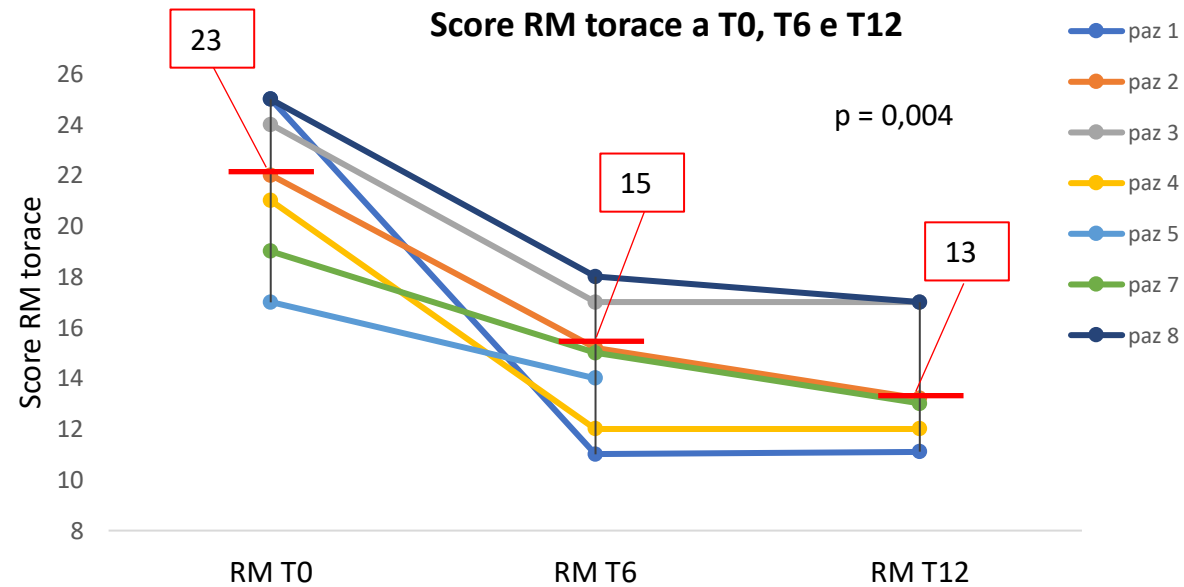


RISULTATI: Risonanza magnetica

Score RM torace:

A T6 riduzione di 31.8%

A T12 riduzione del 40.9%



RISULTATI: effetti avversi

1 episodio di colica biliare

0 segnalazioni di aumento persistente degli indici di funzionalità epatica
(AST/ALT/bilirubina tot > 3x)

0 segnalazioni di effetti avversi severi

Nessun paziente ha **sospeso** la terapia

CONCLUSIONI



Efficacia significativa della terapia in pazienti FC con malattia polmonare severa

Riduzione delle riacutizzazioni e della terapia antibiotica

Sospensione dalla lista trapianto bpolmonare

CONCLUSIONI



Miglioramento funzionale con danno strutturale severo
irreversibile

Buona tollerabilità della terapia

Efficacia duratura nel tempo, con dati positivi a 12 mesi

Grazie dell'attenzione