

## **Vertex annuncia la pubblicazione in Gazzetta Ufficiale della determina per la rimborsabilità in Italia del suo portfolio di farmaci approvati per il trattamento della Fibrosi Cistica**

*- Da oggi circa 1.400 pazienti avranno accesso per la prima volta a un modulatore CFTR -*

**ROMA** – 6 Luglio 2021 – Vertex Pharmaceuticals Incorporated (Nasdaq: VRTX) è lieta di annunciare che a seguito dell’esito positivo della trattativa con l’Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) sono state pubblicate ieri in Gazzetta Ufficiale le determinazioni AIFA per la rimborsabilità dei farmaci approvati per il trattamento della Fibrosi Cistica (FC) sviluppati dall’Azienda, inclusi KAFTRIO<sup>®</sup>, SYMKEVI<sup>®</sup> e le estensioni di indicazioni di ORKAMBI<sup>®</sup> e KALYDECO<sup>®</sup> per i pazienti eleggibili.

Una buona notizia per i circa 1.400 pazienti italiani con Fibrosi Cistica che da oggi hanno accesso per la prima volta ad un modulatore CFTR.

La pubblicazione delle determinazioni AIFA nella Gazzetta Ufficiale Numero 159 del 5 Luglio 2021\* rappresenta l’ultimo tassello dell’iter regolatorio di approvazione nazionale della rimborsabilità caratterizzata – nel caso di KAFTRIO<sup>®</sup> in associazione con KALYDECO<sup>®</sup> – da tempi estremamente ridotti rispetto alla consueta tempistica media riscontrata normalmente.

Un risultato importante, frutto dell’impegno e della collaborazione di tutte le parti coinvolte, che garantirà ai pazienti italiani opzioni terapeutiche innovative.

*“Ancora non possiamo parlare di una cura definitiva per la fibrosi cistica ma la terapia modulatrice mutazione-dipendente della proteina CFTR sta dimostrando di migliorare l’aspettativa e la qualità di vita di molti pazienti”* dichiarano le tre realtà che in Italia si occupano con ruoli e funzioni distinti di fibrosi cistica e che da decenni sostengono l’attività di cura, di assistenza e di ricerca scientifica, 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)**. *“Per l’ultimo dei modulatori introdotti, KAFTRIO<sup>®</sup>, il risultato è stato raggiunto in tempi relativamente brevi rispetto alla media europea, che si attesta sui 400 giorni dall’approvazione dell’EMA. Dopo la pubblicazione di ieri in Gazzetta Ufficiale della determina AIFA, confidiamo nella piena collaborazione delle Regioni affinché sia garantito un equo e appropriato accesso al farmaco e l’immediata disponibilità per i pazienti dato il suo carattere innovativo”*.

*“Siamo molto orgogliosi di aver raggiunto anche in Italia questo traguardo in piena collaborazione con le autorità regolatorie del Paese e in tempi che non esiterei a definire record. Rappresenta un ulteriore stimolo per proseguire nei nostri sforzi per sviluppare e rendere rapidamente accessibili terapie che facciano davvero la differenza per tutti coloro che*

\* [https://www.gazzettaufficiale.it/gazzetta/serie\\_generale/caricaDettaglio?dataPubblicazioneGazzetta=2021-07-05&numeroGazzetta=159&elenco30giorni=true](https://www.gazzettaufficiale.it/gazzetta/serie_generale/caricaDettaglio?dataPubblicazioneGazzetta=2021-07-05&numeroGazzetta=159&elenco30giorni=true)

*vivono con la Fibrosi Cistica. Ancora una volta non posso che ringraziare AIFA e tutte le parti coinvolte che hanno contribuito a raggiungere questo importante traguardo” - ha dichiarato **Federico Viganò, Country Manager per Italia e Grecia di Vertex Pharmaceuticals.***

## **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 si trova 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 stata infatti inclusa nella lista dei “Top Employers” della rivista *Science* per 10 anni consecutivi ed è stata inserita tra le prime cinque aziende dell’elenco “Best Employers for Diversity 2019” di *Forbes*.

## **KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) in associazione con ivacaftor**

KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) in un regime di associazione con ivacaftor è stato sviluppato per il trattamento della Fibrosi Cistica (FC) in pazienti a partire dai 12 anni di età che hanno almeno una copia della mutazione *F508del* nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (*CFTR*). Ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor è concepito per aumentare la quantità e la funzione della proteina *F508del-CFTR* sulla superficie cellulare. L’ultima indicazione approvata dalla UE per ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor è stata supportata dai risultati positivi di tre studi globali di fase III condotti in persone a partire dai 12 anni di età con fibrosi cistica: uno studio di fase III di 24 settimane (VX 445-102) condotto in 403 persone con una mutazione *F508del* e una mutazione con funzione minima (F/MF), uno studio di fase III di quattro settimane (VX 445-103) in 107 persone con due mutazioni *F508del* (F/F) e uno studio

di fase III (VX 445-104) in 258 persone eterozigoti per la mutazione *F508del-CFTR* e con una mutazione *gating* (F/G) o una mutazione di funzione residua (F/RF) nel gene *CFTR*.

Per informazioni complete, consultare il *Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto*, disponibile all'indirizzo [www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu)

### **SYMKEVI® (tezacaftor/ivacaftor) in associazione con ivacaftor**

Alcune mutazioni impediscono – all'interno della cellula – il normale processamento della proteina CFTR, la quale in genere non raggiunge la superficie cellulare. Tezacaftor è concepito per agire sul difetto di trasporto ed elaborazione della proteina CFTR, al fine di consentirle di raggiungere la superficie cellulare, mentre ivacaftor è concepito per migliorare la funzione della proteina CFTR una volta raggiunta la superficie cellulare.

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

Nelle persone con due copie della mutazione *F508del*, la proteina CFTR non viene processata e trasportata normalmente all'interno della cellula, con conseguente assenza (o scarsa presenza) della proteina sulla superficie cellulare. I pazienti con due copie della mutazione *F508del* sono facilmente diagnosticabili, mediante un semplice test genetico.

Lumacaftor/ivacaftor è una combinazione di lumacaftor – progettato per aumentare la quantità di proteina matura alla superficie delle cellule, mirando al difetto di elaborazione e trasporto della proteina CFTR con mutazione *F508del* – e ivacaftor, concepito per migliorare la funzionalità della proteina CFTR una volta che questa ha raggiunto la superficie della cellula.

### **KALYDECO® (ivacaftor)**

Ivacaftor è il primo medicinale a trattare la causa alla base della fibrosi cistica nelle persone con mutazioni specifiche nel gene *CFTR*. Conosciuto come potenziatore di CFTR, ivacaftor è un medicinale orale progettato 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.

Per informazioni complete sul prodotto, consultare il *Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto* disponibile su [www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu).



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

Questo comunicato stampa contiene dichiarazioni previsionali che rispondono ai requisiti del *Private Securities Litigation Reform Act* del 1995, incluse, senza limitazioni, le dichiarazioni rese in questo stesso comunicato stampa da Federico Viganò, Country Manager per Italia e Grecia di Vertex Pharmaceuticals, le dichiarazioni delle tre principali associazioni pazienti per la Fibrosi Cistica, dichiarazioni relative alla revisione e alle opinioni in merito alla potenziale approvazione in questi pazienti, le nostre aspettative riguardo all'approvazione regolatoria e il numero stimato di pazienti eleggibili al nostro medicinale per la prima volta e le nostre convinzioni riguardo ai benefici dei nostri farmaci. Sebbene Vertex ritenga che le dichiarazioni previsionali contenute in questo comunicato stampa siano accurate, tali dichiarazioni previsionali rappresentano le convinzioni dell'azienda solo alla data di questo comunicato stampa; esiste, infatti, una serie di fattori che potrebbero far sì che gli eventi o i risultati effettivi differiscano materialmente da quelli indicati da tali dichiarazioni previsionali. Tali rischi e incertezze includono, tra il resto, la possibilità che i dati dei programmi di sviluppo dell'azienda non siano in grado di supportare un'indicazione estesa per KAFTRIO®, che l'EMA possa non approvare tempestivamente (o definitivamente) le domande di registrazione post-marketing dell'azienda per KAFTRIO® e altri rischi elencati alla voce "Fattori di rischio" nella relazione annuale di Vertex e nei successivi documenti depositati presso la *Securities and Exchange Commission* e disponibili sul sito web della società, agli indirizzi [www.vrtx.com](http://www.vrtx.com) e [www.sec.gov](http://www.sec.gov). Non si deve fare eccessivo affidamento su queste affermazioni. Vertex declina ogni obbligo di aggiornare le informazioni contenute in questo comunicato stampa qualora se ne rendessero disponibili di nuove.

(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:**



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

## News Release

---

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