



## Fibrosi cistica, Aifa rinnova e amplia anche a bimbi rimborsabilit  trattamenti

### Descrizione

(Adnkronos)        stata pubblicata in Gazzetta Ufficiale la determinazione dell'Agenzia italiana del farmaco (Aifa) per il rinnovo del portfolio dei suoi farmaci approvati per il trattamento della fibrosi cistica (Fc) e lâ  ampliamento della rimborsabilit  per lâ  estensione di indicazione di Kaftrio   e Kalydeco  . Lo annuncia Vertex Pharmaceuticals in una nota diffusa oggi. L'accordo di rimborsabilit  , valido per 2 anni, permetter  a oltre 200 nuovi pazienti pediatrici italiani di accedere, per la prima volta, ai modulatori della proteina Cftr, trattamenti innovativi che agiscono sulle cause all  origine di questa grave malattia genetica.    Accogliamo con soddisfazione la decisione di Aifa di allargare lâ  accesso a queste terapie innovative anche ai bambini con fibrosi cistica     ha affermato Francesco Blasi, presidente della Societ  italiana per lo studio della fibrosi cistica (Sific)     Nel trattamento di questa patologia, infatti,    fondamentale iniziare la terapia con i modulatori il pi   precocemente possibile in modo da rallentare la progressione della malattia e migliorarne la gestione  

- La determinazione Aifa estende lâ  uso di Kaftrio  , in regime di associazione con Kalydeco  , ai pazienti affetti da Fc di et  compresa tra 2 e 6 anni con almeno una mutazione F508del nel gene Cftr e lâ  uso di Kalydeco   a pazienti affetti da Fc di et  compresa tra 1 e meno di 4 mesi che hanno una mutazione R117H Cftr o una delle seguenti mutazioni di gating (di classe III) nel gene Cftr: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R.    Sebbene non sia ancora disponibile una cura definitiva per la fibrosi cistica     commentato Federico Vigan  , Country Manager per Italia e Grecia di Vertex Pharmaceuticals     i farmaci modulatori della proteina Cftr sviluppati da Vertex stanno dimostrando di migliorare in modo significativo la qualit  della vita e di aumentare l'aspettativa di vita dei pazienti, il che rappresenta un progresso fondamentale nel trattamento della malattia  
- La fibrosi cistica     informa la nota        una malattia genetica rara che colpisce oltre 109mila persone, di cui circa 94mila in Nord America, Europa ed Australia. E' una patologia multisistemica progressiva che colpisce polmoni, fegato, tratto gastrointestinale, seni nasali, ghiandole sudoripare, pancreas e organi riproduttivi.    causata dall  assenza o dall  alterato funzionamento della proteina Cftr, dovute a mutazioni del gene Cftr. Perch   si sviluppi,    necessario ereditare due alleli del gene Cftr difettosi     uno da ciascun genitore     ed    possibile rilevarlo attraverso un test genetico. La stragrande maggioranza delle persone colpite da Fc ha almeno una mutazione F508del. Le proteine Cftr non funzionanti e/o numericamente ridotte impediscono 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 pu   causare infezioni polmonari croniche e danni

---

polmonari progressivi in molti pazienti fino a provocarne la morte. â??salutewebinfo@adnkronos.com  
(Web Info)

**Categoria**

1. H24News

**Tag**

1. adnkronos
2. Ultimora

**Data di creazione**

Agosto 26, 2025

**Autore**

andreaperocchi\_pdnrf3x8

*default watermark*