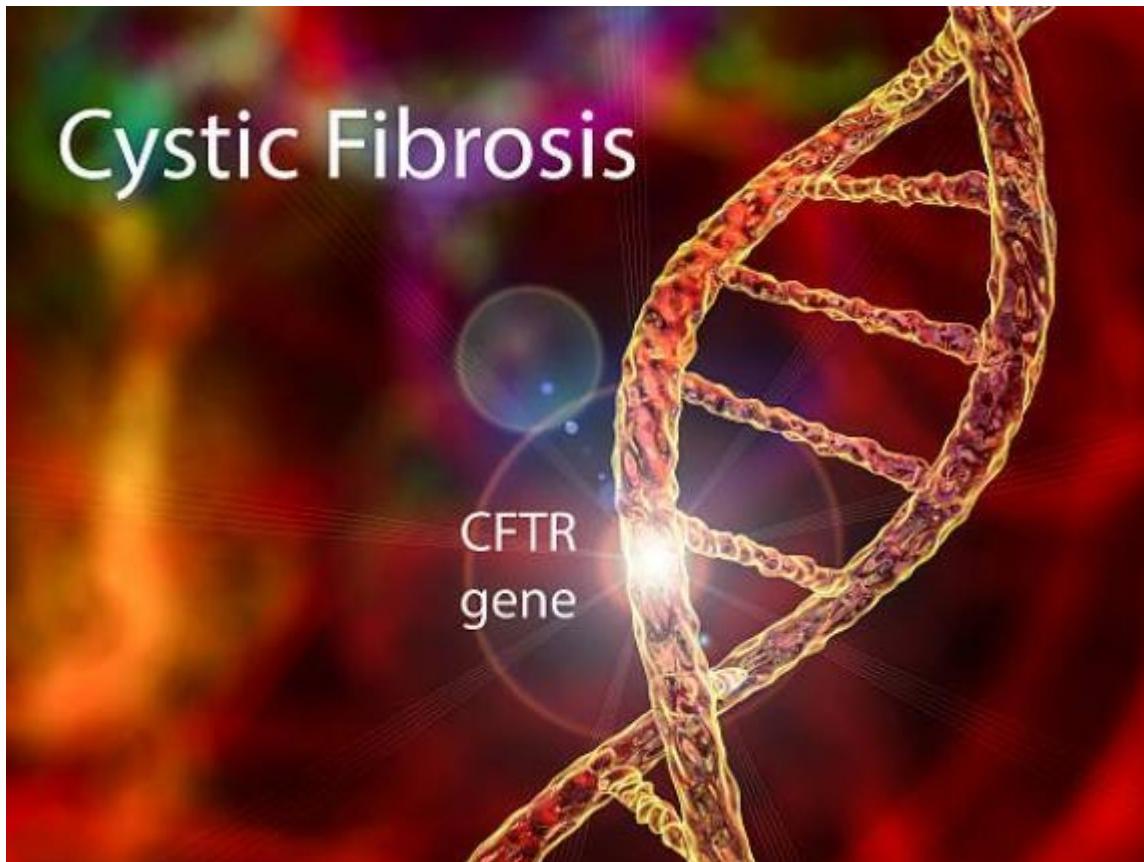


Fibrosi cistica, l'appello: «Il farmaco già disponibile in Europa lo sia al più presto anche per i nostri figli»

La Commissione Europea ha approvato ad aprile l'estensione dell'indicazione terapeutica di un medicinale già utilizzato in Italia, rendendolo disponibile per altri pazienti. Si è in attesa del via libera in Italia (Fonte: <https://www.corriere.it/> 29 settembre 2025)



La **fibrosi cistica**, grave malattia genetica rara degenerativa, causata dal difetto di una proteina chiamata CFTR (acronimo di *Cystic Fibrosis Transmembrane Regulator*), colpisce diversi organi, prevalentemente i polmoni e le vie respiratorie e l'apparato digerente. A oggi si conoscono circa duemila mutazioni a carico della proteina responsabile della malattia. Grazie ai progressi della ricerca scientifica, sono disponibili **terapie innovative** per molti pazienti con **fibrosi cistica** e, per altri malati finora esclusi, si intravedono nuove speranze concrete; da qui la richiesta di «fare presto».

Farmaco approvato per altre mutazioni: la situazione in Italia

Ad aprile, dopo il via libera dell'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA), la Commissione Europea ha approvato l'estensione dell'indicazione terapeutica di un medicinale già utilizzato in Italia, basato sulla **combinazione dei principi attivi ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor**, rendendolo disponibile per tutte le persone con fibrosi cistica di età pari o superiore a 6 anni che hanno almeno una mutazione del gene CFTR non di Classe I.

Ora, si attende l'autorizzazione in Italia da parte di Aifa, l'Agenzia italiana del farmaco.

L'appello dei genitori

Per chi ha la **fibrosi cistica** «ogni respiro è una conquista», spiega al *Corriere Salute* la mamma di un ragazzo che soffre di questa malattia ed è in **attesa di poter usufruire del nuovo farmaco approvato da Ema anche per il suo tipo di mutazione**. L'appello dei genitori è di accelerare i tempi di approvazione in Italia in modo da «permettere al più presto l'accesso al **farmaco salvavita già in uso in diversi Paesi europei**».

Spiega Antonio Guarini, presidente Lega Italiana Fibrosi Cistica (LIFC): «Oggi il **70% dei pazienti** con fibrosi cistica può **usufruire del farmaco**, che può essere definito "miracoloso": ha evitato il trapianto di polmone a pazienti che erano in lista d'attesa e migliorato la vita ad altri malati. L'altro 30% di pazienti, però, è escluso dall'utilizzo del medicinale. Ad aprile - prosegue Guarini - l'Ema ha dato parere favorevole all'estensione dell'indicazione terapeutica del medicinale (basato sulla combinazione dei principi attivi ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor), per altre mutazioni del gene CFTR. Abbiamo avuto contatti sia con l'Agenzia italiana del farmaco che con l'azienda produttrice, per sottolineare **l'urgenza di rendere il medicinale disponibile anche per quei pazienti orfani di terapia**. Confidiamo in una soluzione rapida poiché i malati l'aspettano con ansia».

Aifa: dossier all'ordine del giorno a ottobre

Interpellata dal *Corriere Salute*, l'Agenzia italiana del farmaco fa sapere che, «**dopo la presentazione del dossier** da parte dell'azienda farmaceutica ad Aifa, è stato **avviato il procedimento** per l'ammissione alla rimborsabilità delle nuove indicazioni del farmaco ed è in corso una trattativa negoziale con l'azienda. **Nelle sedute di ottobre il dossier sarà all'ordine del giorno della Commissione scientifico-economica di Aifa**, che auspica di poter lavorare con serenità e tempi adeguati per la negoziazione con la controparte e per dare attuazione alle decisioni regolatorie europee. Altri strumenti, come il ricorso alla legge 648 - che consente l'utilizzo di farmaci non ancora autorizzati per una determinata patologia, ma che hanno già dimostrato efficacia in studi clinici o sono stati approvati per la stessa indicazione in altri Paesi - sono **all'attenzione di Aifa**, che sta valutando quale può essere la migliore opzione percorribile nell'interesse dei pazienti, consapevole delle loro esigenze e della **necessità di garantire l'accesso all'innovazione e al contempo la sostenibilità del Servizio sanitario**».