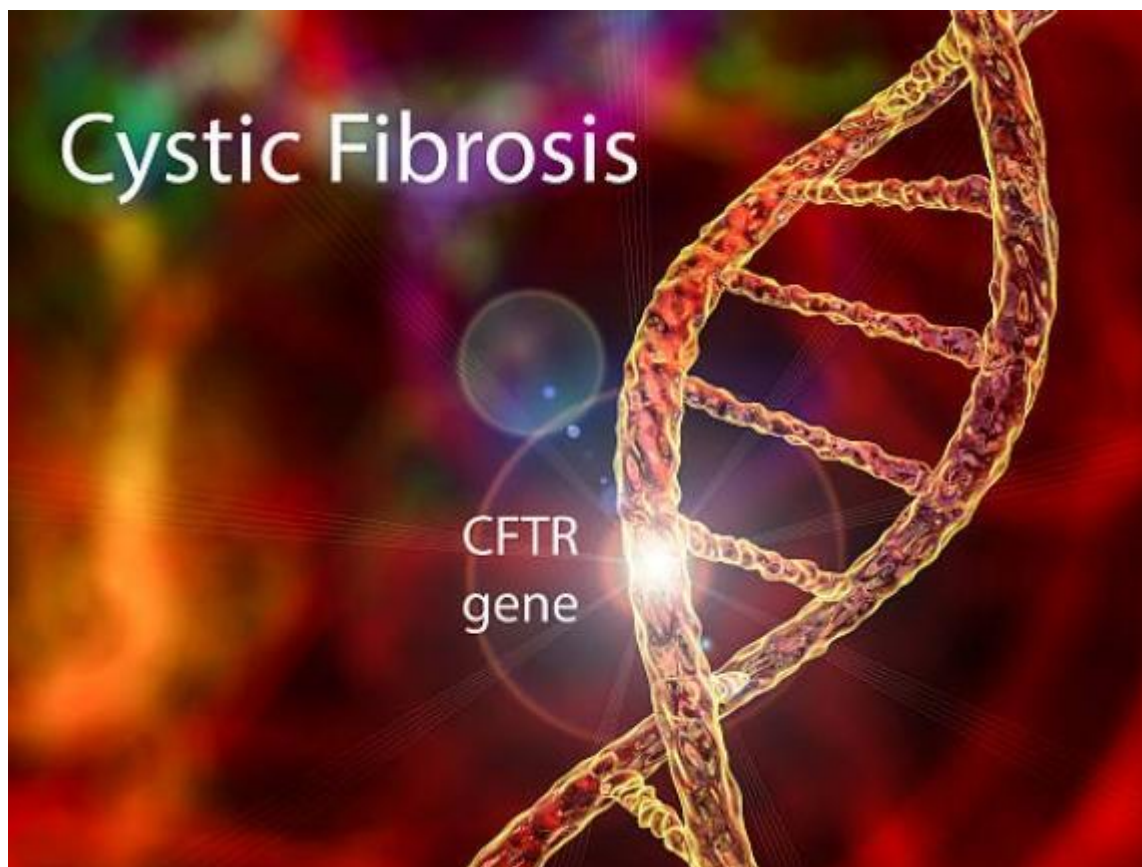


Fibrosi cistica, l'appello: «Il farmaco già disponibile in Europa lo sia al più presto anche per i nostri figli»

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**».