



**Fibrosi cistica: estesa la platea dei pazienti che possono accedere gratuitamente ai nuovi farmaci modulatori di CFTR**

*Il via libera del Consiglio di Amministrazione ha riguardato 2 farmaci orfani, 2 nuove molecole, 7 generici, 3 biosimilari e 5 estensioni di indicazione terapeutica.*

Tutti i malati di fibrosi cistica che rispondono alle nuove indicazioni autorizzate da EMA per i modulatori del gene CFTR potranno beneficiare gratuitamente del farmaco **Kaftrio** (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) in associazione con **Kalydeco** (ivacaftor).

È quanto ha deciso il Consiglio di Amministrazione dell'AIFA nella seduta del 28 gennaio, a chiusura di una serrata trattativa condotta dalla Commissione Scientifica ed Economica (CSE) dell'Agenzia con l'azienda farmaceutica titolare del medicinale.

Il farmaco era già rimborsato in Italia per i pazienti a partire dai 2 anni di età con le mutazioni più comuni, che interessano circa l'80% dei malati (oltre 3.000 in Italia, secondo le stime). Con l'estensione alle mutazioni più rare, la platea dei pazienti che accederanno al trattamento a carico del Servizio Sanitario Nazionale ricomprenderà anche la quasi totalità dei malati non ancora inclusi nella rimborsabilità (circa 1.600), che fino ad oggi non avevano valide alternative di cura.

La decisione, molto attesa, è stata possibile grazie all'importante sconto (confidenziale) ottenuto dall'Agenzia sul prezzo proposto dall'azienda all'inizio della negoziazione, a luglio 2025.

La fibrosi cistica è una malattia genetica rara e progressiva che colpisce soprattutto l'apparato respiratorio e quello digerente. È dovuta a un gene mutato, chiamato gene CFTR (Cystic Fibrosis Transmembrane Regulator), che determina la produzione di muco eccessivamente denso. Questo muco chiude i bronchi, portando a infezioni respiratorie ripetute, e ostruisce il pancreas impedendo la corretta digestione e assimilazione del cibo. I farmaci modulatori della proteina CFTR, come Kaftrio e Kalydeco, agiscono sulla funzionalità respiratoria, migliorando significativamente la qualità di vita dei pazienti.

Il CdA ha anche ammesso alla rimborsabilità **Alyftrek** (vanzacaftor/tezacaftor/deutivacaftor), un altro modulatore CFTR di nuova generazione per la fibrosi cistica, somministrabile in due compresse da assumere una volta al giorno in pazienti di età pari o superiore a 6 anni.

Complessivamente il via libera del Consiglio di Amministrazione ha riguardato 2 farmaci orfani, 2 nuove molecole, 7 generici, 3 biosimilari e 5 estensioni di indicazione terapeutica.

*«Su alcuni di questi farmaci, come quelli per la fibrosi cistica, c'era molta attesa da parte dei pazienti – afferma il Presidente Robert Nisticò – e siamo lieti che l'impegno dell'Agenzia nel confronto con l'azienda abbia consentito di concludere positivamente l'iter di negoziazione, essendo nostra priorità mettere a disposizione dei cittadini i medicinali essenziali. Chiaramente è responsabilità dell'AIFA far sì che i costi di queste nuove terapie siano sostenibili per il Servizio*

*Sanitario Nazionale. Per questo è fondamentale valutare l'innovazione in funzione del suo reale valore aggiunto per i pazienti e in un'ottica di investimento per il sistema sanitario nel suo complesso. Farmaci che modificano radicalmente la storia di una patologia e contribuiscono ad aumentare l'aspettativa di vita in condizioni di salute migliori, sono anche una risorsa per il SSN perché consentono ad esempio di ridurre l'impatto dei costi di ospedalizzazione e di tutti quei trattamenti che si rendono necessari per fronteggiare le complicanze frequenti e gravi cui vanno incontro i pazienti a causa di queste malattie».*

Il secondo farmaco orfano è **Lyvdelzi** (seladelpar), indicato per il trattamento della colangite biliare primaria.

Le due nuove molecole ammesse alla rimborsabilità sono gli anticorpi monoclonali:

- **Alhemo** (concizumab), per la profilassi di routine degli episodi emorragici in pazienti con emofilia A o B
- **Andembry** (garadacimab) per la prevenzione di routine degli attacchi ricorrenti di angioedema ereditario

Saranno rimborsati dal Servizio Sanitario Nazionale anche altri 2 biosimilari di aflibercept (**Baiama** e **Eydenzelt**), il farmaco per la degenerazione maculare neovascolare correlata all'età, e di golimumab (**Gobivaz**), l'anticorpo monoclonale utilizzato per il trattamento di forme moderate e severe di artrite reumatoide, artrite psoriasica e spondilite anchilosante e colite ulcerosa.

Saranno ammessi alla rimborsabilità anche i primi generici di nintedanib (**Nintedanib Teva** e **Viatrix**, **Nipfilan**, **Puqod**), di nintedanib esilato (**Nintedanib Accord** e **Sandoz**), indicati per il trattamento della fibrosi polmonare idiopatica e di malattie interstiziali polmonari, e dell'antiepilettico brivaracetam (**Brivaracetam Teva**).

Le altre estensioni di indicazione terapeutica che saranno a carico del SSN sono:

- **Fabhalta** (iptacopan), per il trattamento della glomerulopatia da C3, una rara e grave malattia renale
- **Jivi** (fattore VIII), per il trattamento e la profilassi delle emorragie nei pazienti precedentemente trattati, di età  $\geq 7$  anni, con emofilia A
- **Kisqali** (ribociclib), per il cancro della mammella in fase iniziale.

*In calce al comunicato la tabella riassuntiva con i farmaci autorizzati e ammessi alla rimborsabilità da parte del Ssn e le indicazioni terapeutiche per esteso.*

**TABELLA DI SINTESI NUOVI FARMACI ED ESTENSIONE DELLE INDICAZIONI - CdA 28 gennaio 2026\***

<b>TIPOLOGIA NEGOZIAZIONE</b>	<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>FARMACO</b>	<b>INDICAZIONI TERAPEUTICHE</b>
Farmaci orfani per malattie rare	Seladelpar	LYVDELZI	Seladelpar Gilead è indicato per il trattamento della colangite biliare primaria (primary biliary cholangitis, PBC) in combinazione con acido ursodesossicolico (UDCA) negli adulti che hanno una risposta inadeguata al solo UDCA o in monoterapia in quelli ove UDCA non è tollerato.
	Deutivacaftor/tezacaftor/vanzacaftor	ALYFTREK	Alyftrek compresse è indicato per il trattamento della fibrosi cistica (FC), in pazienti di età pari o superiore a 6 anni che hanno almeno una mutazione non di Classe I del gene regolatore di conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR).
Nuove molecole	Concizumab	ALHEMO	Concizumab è indicato per la profilassi di routine degli episodi emorragici in pazienti con: <ul style="list-style-type: none"> <li>• emofilia A (deficit congenito del fattore VIII) con inibitori del FVIII e di età pari o superiore a 12 anni.</li> <li>• emofilia B (deficit congenito del fattore IX) con inibitori del FIX e di età pari o superiore a 12 anni</li> </ul>
	Garadacimab	ANDEMBRY	ANDEMBRY è indicato per la prevenzione di routine degli attacchi ricorrenti di angioedema ereditario (hereditary angioedema, HAE) negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni
Farmaci generici, copie (nuove specialità di principi attivi già presenti sul mercato) o di importazione parallela	Brivaracetam	BRIVARACETAM TEVA	Brivaracetam Teva è indicato come terapia aggiuntiva nel trattamento delle crisi a esordio parziale con o senza generalizzazione secondaria in adulti, adolescenti e bambini a partire da 2 anni di età con epilessia
	Nintedanib esilato	NINTEDANIB ACCORD	Nintedanib Accord è indicato negli adulti per il trattamento della fibrosi polmonare idiopatica (idiopathic pulmonary fibrosis, IPF). Nintedanib Accord è inoltre indicato negli adulti per il trattamento di malattie interstiziali polmonari (interstitial lung disease, ILD) fibrosanti croniche con fenotipo progressivo (vedere paragrafo 5.1).

	Nintedanib esilato	NINTEDANIB SANDOZ	Nintedanib Sandoz è indicato negli adulti per il trattamento della fibrosi polmonare idiopatica (IPF). Nintedanib Sandoz è inoltre indicato negli adulti per il trattamento di malattie interstiziali polmonari (ILD) fibrosanti croniche con fenotipo progressivo Nintedanib Sandoz è indicato negli adulti per il trattamento della malattia interstiziale polmonare associata a sclerosi sistemica (SSc-ILD)
	Nintedanib	NINTEDANIB TEVA	Nintedanib Teva è indicato negli adulti per il trattamento della fibrosi polmonare idiopatica (IPF). Nintedanib Teva è inoltre indicato negli adulti per il trattamento di malattie polmonari interstiziali (ILD) fibrosanti croniche con fenotipo progressivo. Nintedanib Teva è indicato negli adulti per il trattamento della malattia polmonare interstiziale associata a sclerosi sistemica (SSc-ILD)
	Nintedanib	NINTEDANIB VIATRIS	Nintedanib Viatris è indicato negli adulti per il trattamento della fibrosi polmonare idiopatica (IPF). Nintedanib Viatris è inoltre indicato negli adulti per il trattamento di malattie interstiziali polmonari (ILD) fibrosanti croniche con fenotipo progressivo (vedere paragrafo 5.1).
	Nintedanib	NIPFILAN	Nipfilan è indicato negli adulti per il trattamento della fibrosi polmonare idiopatica (IPF). Nipfilan è inoltre indicato negli adulti per il trattamento di malattie polmonari interstiziali (ILD) fibrosanti croniche con fenotipo progressivo (vedere paragrafo 5.1). Nipfilan è indicato negli adulti per il trattamento della malattia polmonare interstiziale associata a sclerosi sistemica (SSc-ILD)
	Nintedanib	PUQOD	Puqod è indicato negli adulti per il trattamento della fibrosi polmonare idiopatica (IPF). Puqod è inoltre indicato negli adulti per il trattamento di malattie polmonari interstiziali (ILD) fibrosanti croniche con fenotipo progressivo. Puqod è indicato negli adulti per il trattamento della malattia polmonare interstiziale associata a sclerosi sistemica (SSc-ILD)
Estensione delle indicazioni terapeutiche/posologia	Iptacopan	FABHALTA	Glomerulopatia da C3 Fabhulta è indicato per il trattamento dei pazienti adulti con glomerulopatia da C3 (C3G) in combinazione con un inibitore del sistema renina-angiotensina (RAS), oppure in pazienti che sono intolleranti agli inibitori di RAS o per i quali un inibitore di RAS è controindicato
	Fattore VIII	JIVI	Trattamento e profilassi delle emorragie nei pazienti precedentemente trattati, di età ≥7 anni, con emofilia A (carenza congenita di fattore VIII).

	Ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor	KAFTRIO	<p>Comprese:</p> <p>In un regime di associazione con ivacaftor compresse per il trattamento di adulti, adolescenti e bambini di età pari o superiore a 6 anni affetti da fibrosi cistica (FC) che hanno almeno una mutazione non di Classe I del gene CFTR.</p> <p>Granulato:</p> <p>In un regime di associazione con ivacaftor per il trattamento della fibrosi cistica (FC) in pazienti pediatrici di età compresa tra 2 e meno di 6 anni, che hanno almeno una mutazione non di Classe I nel gene CFTR</p>
	Ivacaftor	KALYDECO	<p>Comprese:</p> <p>In un regime di associazione con ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor compresse per il trattamento di adulti, adolescenti e bambini di età pari o superiore a 6 anni affetti da fibrosi cistica (FC) che hanno almeno una mutazione non di Classe I del gene CFTR (vedere paragrafi 4.2 e 5.1).</p> <p>Granulato:</p> <p>In un regime di associazione con ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor per il trattamento della fibrosi cistica (FC) in pazienti pediatrici di età compresa tra 2 e meno di 6 anni, che hanno almeno una mutazione non di Classe I nel gene CFTR</p>
	Ribociclib	KISQALI	<p>Cancro della mammella in fase iniziale</p> <p>Kisqali in associazione a un inibitore dell'aromatasi è indicato per il trattamento adiuvante di pazienti con cancro della mammella in fase iniziale positivo per il recettore ormonale (HR) e negativo per il recettore di tipo 2 per il fattore di crescita epidermico umano (HER2), ad alto rischio di recidiva (vedere paragrafo 5.1 per i criteri di selezione).</p> <p>In donne in pre- o perimenopausa, o in uomini, l'inibitore dell'aromatasi deve essere associato ad un agonista dell'ormone di rilascio dell'ormone luteinizzante (LHRH</p>

Biosimilari	Aflibercept	BAIAMA	<p>degenerazione maculare neovascolare (essudativa) correlata all'età (Age-related Macular Degeneration - AMD) (vedere paragrafo 5.1 del RCP),</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• compromissione della visione dovuta a edema maculare secondario a occlusione della vena retinica (RVO di branca o RVO centrale) (vedere paragrafo 5.1 del RCP),</li> <li>• compromissione della vista dovuta a edema maculare diabetico (Diabetic Macular Oedema – DME) (vedere paragrafo 5.1 del RCP),</li> <li>• compromissione della visione dovuta a neovascolarizzazione coroidale miopica (Choroidal NeoVascularisation, CNV miopica)</li> </ul>
	Aflibercept	EYDENZELT	<p>degenerazione maculare neovascolare (essudativa) correlata all'età (Age-related Macular Degeneration - AMD) (vedere paragrafo 5.1 del RCP),</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• compromissione della visione dovuta a edema maculare secondario a occlusione della vena retinica (RVO di branca o RVO centrale) (vedere paragrafo 5.1 del RCP),</li> <li>• compromissione della vista dovuta a edema maculare diabetico (Diabetic Macular Oedema – DME) (vedere paragrafo 5.1 del RCP),</li> <li>• compromissione della visione dovuta a neovascolarizzazione coroidale miopica (Choroidal NeoVascularisation, CNV miopica)</li> </ul>
	Golimumab	GOBIVAZ	<p>Artrite reumatoide (AR):  GOBIVAZ®, in associazione con metotrexato (MTX), è indicato per:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• il trattamento dell'artrite reumatoide in fase attiva di grado da moderato a severo, in pazienti adulti, quando la risposta ai farmaci anti-reumatici che modificano la malattia (DMARD Disease-Modifying Anti-Rheumatic Drug), incluso MTX, sia stata inadeguata.</li> <li>• il trattamento dell'artrite reumatoide severa, attiva e progressiva negli adulti non precedentemente trattati con MTX.</li> </ul> <p>Artrite psoriasica (AP)  GOBIVAZ®, singolarmente o in associazione con metotrexato (MTX), è indicato per il trattamento dell'artrite psoriasica in fase attiva e progressiva, negli adulti, qualora sia stata inadeguata la risposta a precedenti trattamenti DMARD.</p> <p>Spondiloartrite assiale  Spondilite anchilosante (SA)</p>

			<p>GOBIVAZ® è indicato per il trattamento della spondilite anchilosante severa in fase attiva, negli adulti che non hanno risposto in modo adeguato alla terapia convenzionale.</p> <p>Spondiloartrite assiale non radiografica (SpA assiale nr)</p> <p>GOBIVAZ® è indicato per il trattamento di pazienti adulti con spondiloartrite assiale severa non radiografica in fase attiva con segni obiettivi di infiammazione come indicato da elevati livelli di proteina C reattiva (PCR) e/o dall'evidenza nella risonanza magnetica per immagini (RMI), che hanno avuto una risposta inadeguata o sono intolleranti ai farmaci antinfiammatori non steroidei (FANS).</p> <p>Colite ulcerosa (CU)</p> <p>GOBIVAZ® è indicato per il trattamento della colite ulcerosa in fase attiva di grado da moderato a severo, in pazienti adulti che non hanno risposto in modo adeguato alla terapia convenzionale inclusi corticosteroidi e 6-mercaptopurina (6-MP) o azatioprina (AZA), o che risultano intolleranti o per cui esista una controindicazione medica a queste terapie.</p>
--	--	--	--

\* N.B. Per altre informazioni (classe e regime di fornitura, innovatività, registro, numero procedura) si veda l'allegato al presente comunicato