

Vertex annuncia l'accordo per la rimborsabilità in Italia del suo portfolio di farmaci per la Fibrosi Cistica, incluso KAFTRIO®, SYMKEVI® e le estensioni di indicazioni di ORKAMBI® e KALYDECO® per pazienti eleggibili con fibrosi cistica

- L'accordo include anche le future indicazioni per i farmaci per la fibrosi cistica di Vertex una volta approvate dalla Commissione Europea e validate dal CTS -

- Dal giorno successivo alla pubblicazione in Gazzetta Ufficiale circa 1.400 pazienti avranno accesso per la prima volta a un modulatore CFTR -

Roma, 25 giugno 2021 – Vertex Pharmaceuticals Incorporated (Nasdaq: VRTX) ha annunciato oggi di aver sottoscritto un nuovo accordo con AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco) per la rimborsabilità di tutti i suoi farmaci approvati per il trattamento della Fibrosi Cistica (FC), incluso KAFTRIO®.

Questo significa che, i pazienti italiani a partire dai 12 anni di età con una mutazione *F508del* e una mutazione con funzione minima (F/MF) o due mutazioni *F508del* (F/F) nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della Fibrosi Cistica (*CFTR*) avranno accesso a KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) in regime di associazione con ivacaftor.

Inoltre, secondo i termini dell'accordo, a partire dai 2 anni di età i pazienti eleggibili affetti da FC che hanno due copie della mutazione *F508del* nel gene *CFTR* avranno ora accesso a ORKAMBI®. Inoltre, ai pazienti eleggibili di età pari o superiore a 12 anni che hanno due copie della mutazione *F508del* o una copia della mutazione *F508del* e una mutazione di funzione residua nel gene *CFTR* può essere prescritto SYMKEVI® in regime di associazione con ivacaftor. L'accordo estende, inoltre, l'accesso a KALYDECO® (ivacaftor) per i pazienti eleggibili di età pari o superiore a un anno e copre anche eventuali future estensioni di indicazione approvate dalla Commissione Europea e ammesse alla rimborsabilità dal CTS di AIFA per i farmaci per la fibrosi cistica di Vertex entro i termini dell'accordo.

“Questo accordo è un risultato importante per i pazienti con Fibrosi Cistica in Italia. I nostri farmaci hanno cambiato radicalmente il trattamento della malattia e non possiamo che essere davvero soddisfatti che i pazienti possano ora accedere al nostro intero portfolio di farmaci per la Fibrosi Cistica – ha dichiarato Federico Viganò, Country Manager per Italia e Grecia di Vertex Pharmaceuticals – Questa notizia ci rende particolarmente orgogliosi e ci avvicina al nostro obiettivo finale, ovvero quello di fornire opzioni terapeutiche efficaci a tutti i pazienti affetti da questa rara malattia. Ringrazio l'AIFA e tutte le parti coinvolte per la collaborazione e l'impegno nel raggiungere rapidamente questo accordo”.

In Italia KALYDECO® e ORKAMBI® sono rimborsati per i pazienti eleggibili rispettivamente dal 2015 e dal 2017. I farmaci per la FC di Vertex sono rimborsati in oltre 25 Paesi in tutto il mondo, inclusi Australia, Francia, Germania, Repubblica d'Irlanda, Paesi Bassi, Spagna, Svezia, Regno Unito e Stati Uniti.

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

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) e sulla *F508del* mutazione

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.

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 Ludovic Fenaux, Senior Vice President di Vertex International, le dichiarazioni relative alla revisione e alle opinioni in merito alla potenziale approvazione in questi pazienti, le nostre aspettative riguardo all’approvazione regolatoria e a

una possibile estensione dell'indicazione per KAFTRIO®, il numero stimato di bambini 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 e 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

o

617-961-7163

Media:

mediainfo@vrtx.com

o

Internazionale: +44 20 3204
5275

o

USA: 617-341-6992

Ufficio stampa Italia:

Edoardo Iannone

Edoardo_Iannone@vrtx.com - +44 7568611476

Teodoro Lattanzio

Teodoro.Lattanzio@omnicomprgroup.com - +39 360 1074335

Viola Brambilla

Viola.Brambilla@omnicomprgroup.com - +39 349 707573



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

News Release
