



Progetto strategico  
2023-2025

# KAFTRIO NELLA VITA REALE

Promosso e finanziato da FFC Ricerca

Il progetto si propone di estendere lo studio degli effetti del Kaftrio a persone con FC che hanno assunto il farmaco sia attraverso il programma ex-compassionevole sia dopo la sua approvazione in Italia da parte di AIFA.



Responsabile per FFC Ricerca:

**Cesare Braggion**

(Direzione Scientifica, Area Ricerca Clinica FFC Ricerca)

Ricercatore principale:

**Maria Cristina Lucanto**

(Centro Regionale di Riferimento per la Fibrosi Cistica di Messina)

Coordinatori dei sub-studi:

**Nicoletta Pedemonte** (UOC Genetica Medica, IRCCS Istituto Giannina Gaslini, Genova), **Cristina Cigana** (Unità di Infezioni e Fibrosi Cistica, Divisione di Immunologia, Trapianti e Malattie Infettive, Ospedale San Raffaele, Milano)



Durata:

2 anni



Finanziamento totale:

€ 328.000



## Efficacia e sicurezza di Kaftrio nella vita reale: due studi italiani osservazionali e multicentrici



Questo nuovo studio post-marketing prosegue la ricerca del precedente progetto *Effetto Kaftrio* che terminerà nella seconda metà del 2023. *Effetto Kaftrio* si proponeva di analizzare gli effetti del farmaco Kaftrio durante un periodo di 2 anni in un gruppo di 130 persone con malattia polmonare avanzata, alcune già inserite in lista d'attesa per il trapianto polmonare. I risultati definitivi saranno comunicati tra **giugno e dicembre 2023**. Al termine del primo anno di studio (su due complessivi) è stato registrato un **incremento mediano dell'indice della spirometria FEV1** di 14,5 punti di percentuale predetta.

Il progetto *Kaftrio nella vita reale* continuerà la raccolta di dati sull'efficacia e la sicurezza del farmaco nelle persone con FC che hanno iniziato la terapia con il Kaftrio attraverso il programma ex-compassionevole (gruppo A), prolungando però l'osservazione **per complessivi 4 anni**. Inoltre, verrà coinvolto **un secondo gruppo di partecipanti** (gruppo B) costituito da persone con FC che hanno cominciato ad assumere il Kaftrio dopo l'autorizzazione all'immissione in commercio avvenuta in Italia il 05/07/2021. Per entrambi i gruppi (A e B), i partecipanti saranno persone con FC di **età uguale o maggiore ai 12 anni** ed **eterozigoti composti per F508del e una mutazione a funzione minima**, che non hanno mai assunto precedentemente un modulatore della proteina CFTR.

Saranno valutate diverse **misure di efficacia e di sicurezza** e verrà posta particolare attenzione alle persone con uno scarso o assente aumento della funzione respiratoria. Due sub-studi valuteranno alcuni aspetti rilevanti della responsività al Kaftrio: 1) la **predittività della risposta ex vivo**, raggiunta da Kaftrio sulla proteina CFTR in cellule nasali dei pazienti, prelevate con brushing nasale, rispetto alla risposta clinica; 2) le differenze nelle caratteristiche fenotipiche e genetiche di *Pseudomonas aeruginosa* tra coloro che hanno una buona risposta clinica e coloro che hanno dimostrato invece uno scarso o assente aumento della funzionalità respiratoria.



Adottabile

Guarda il video per saperne di più

