



**Fondazione per la Ricerca
sulla Fibrosi Cistica - ETS**
italian cystic fibrosis research foundation

Alla cortese attenzione
del Presidente della Repubblica Italiana
del Presidente del Consiglio dei Ministri
del Ministro della Salute
del Ministro per le Disabilità
dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)
della Direzione Vertex Pharmaceuticals

Oggetto: Appello per l'ampliamento e la tempestiva fornitura del farmaco Kaftrio ai pazienti italiani affetti da fibrosi cistica fino ad oggi non destinatari della cura

Egregi Signori,
in qualità di Presidente della Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica e a nome di tutti i nostri "stakeholders", ci rivolgiamo a Voi per richiamare l'attenzione su un tema di profonda rilevanza sanitaria, etica e sociale: l'ammissione alla rimborsabilità delle nuove indicazioni terapeutiche approvate dall'European Medicines Agency (EMA) per il farmaco Kaftrio elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor) in associazione con Kalydeco (ivacaftor).

Kaftrio rappresenta una delle più avanzate terapie per la fibrosi cistica attualmente disponibili, ed ha modificato in modo significativo la qualità di vita dei malati, restituendo una prospettiva di vita più lunga e dignitosa. L'Organizzazione Mondiale della Sanità ha incluso Kaftrio nella lista dei farmaci essenziali, considerandolo terapia indispensabile per garantire la salute e la qualità della vita delle persone con fibrosi cistica.

In Italia per centinaia di persone non è ancora possibile accedervi. L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ha recepito l'autorizzazione europea, ma il farmaco non è ancora rimborsato dal Servizio Sanitario Nazionale. È in corso una trattativa con l'azienda produttrice, Vertex, ma fino alla sua risoluzione i pazienti sono privati della possibilità di migliorare le proprie condizioni cliniche e di vita.

Pur consapevoli dell'importante comunicato stampa di AIFA del 4 novembre u.s. che alimenta una certa speranza, attraverso questa lettera desideriamo sensibilizzare non solo le Istituzioni e le autorità competenti, ma anche l'azienda produttrice, nel rispetto delle prerogative di ognuno, sull'urgenza di ampliare i criteri di accesso al Kaftrio e di accelerarne la distribuzione, affinché nessun paziente potenzialmente trattabile venga lasciato indietro.

La nostra Fondazione, che da molti anni contribuisce in modo sostanziale a sostenere ricerca e corretta informazione sulla fibrosi cistica e che mantiene uno stretto rapporto con le persone che soffrono di questa malattia e i loro familiari, si rende disponibile come sempre in passato, a collaborare pienamente con le Istituzioni per sostenere ogni iniziativa volta a garantire l'equità di trattamento e il diritto alla cura.

Certi della Vostra sensibilità e attenzione verso una causa che riguarda non solo la salute, ma la dignità umana stessa, e con l'auspicio che questo nostro appello trovi una risposta positiva e veloce, invio i più cordiali saluti.

Con viva considerazione e gratitudine

Matteo Marzotto
Presidente
Fondazione Ricerca Fibrosi
Cistica - ETS

Carlo Castellani
Direttore Scientifico
Fondazione Ricerca Fibrosi cistica -
ETS

Paolo Faganelli
Vicepresidente
Fondazione Ricerca Fibrosi
Cistica - ETS