

LA TRIPLICE ASSOCIAZIONE IVACAFTOR/TEZACAFTOR/ELEXACAFTOR NELLA FIBROSI CISTICA

DALL'USO COMPASSIONEVOLLE ALL'INNOVATIVITÀ NELLA REAL LIFE

S. De Pasquale, L. Maserati, G. De Luca, A. Zanardi, A.M. Gazzola

Dipartimento Farmaceutico Interaziendale Parma

OBIETTIVI

Obiettivo del lavoro è descrivere l'esperienza maturata nell'utilizzo di Ivacaftor/Tezacaftor/Elexacaftor nella Fibrosi Cistica (FC), dall'ambito sperimentale alla normale pratica clinica.

INTRODUZIONE

L'associazione Ivacaftor/Tezacaftor/Elexacaftor è indicata nel trattamento della Fibrosi Cistica in pazienti di età ≥ 6 anni con almeno una mutazione F508del nel gene per il regolatore della conduttanza transmembrana (CFTR). AIFA ha attribuito alla terapia l'innovatività piena per il trattamento della FC in pazienti di età ≥ 12 anni omozigoti per mutazione F508del nel gene per CFTR o eterozigoti con mutazione a funzione minima (MF) e quello di innovatività condizionata per pazienti eterozigoti per F508del nel gene CFTR con mutazione di gating o di funzione residua o non classificata o non identificata.

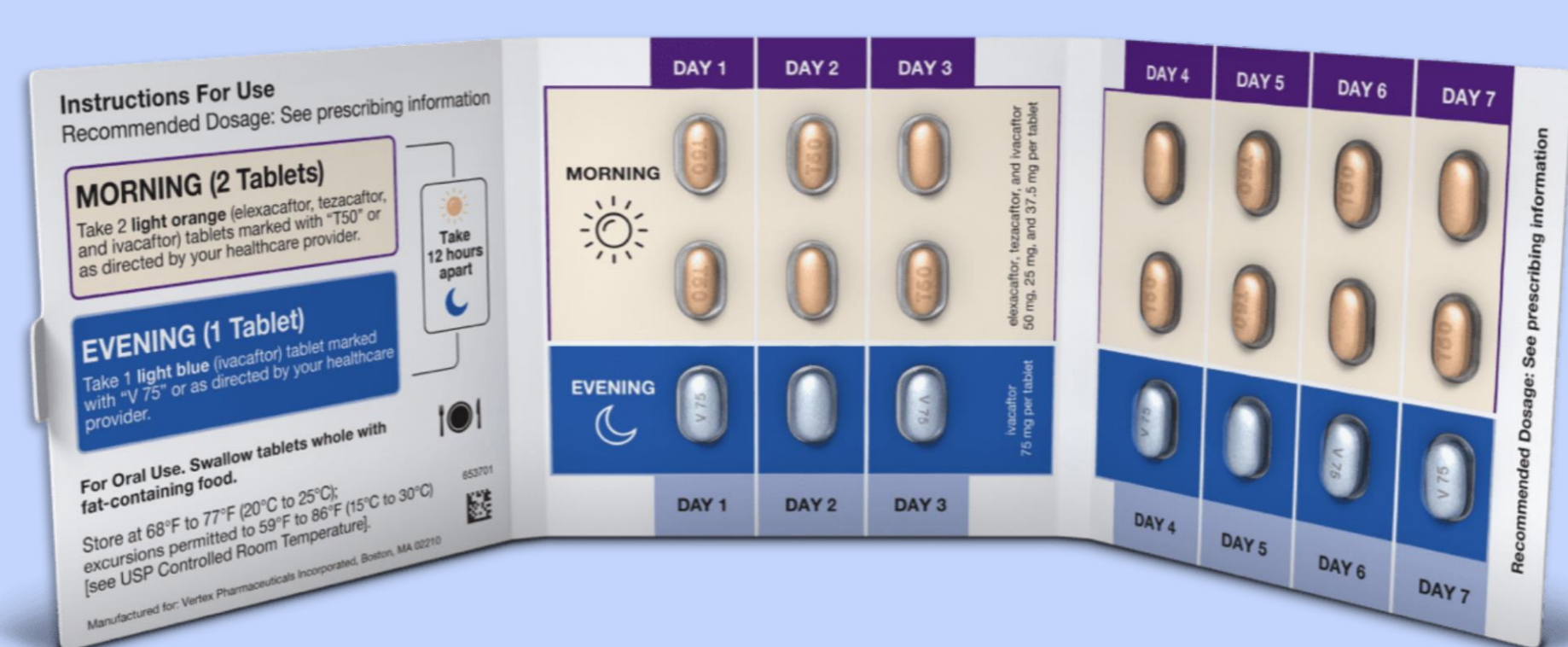
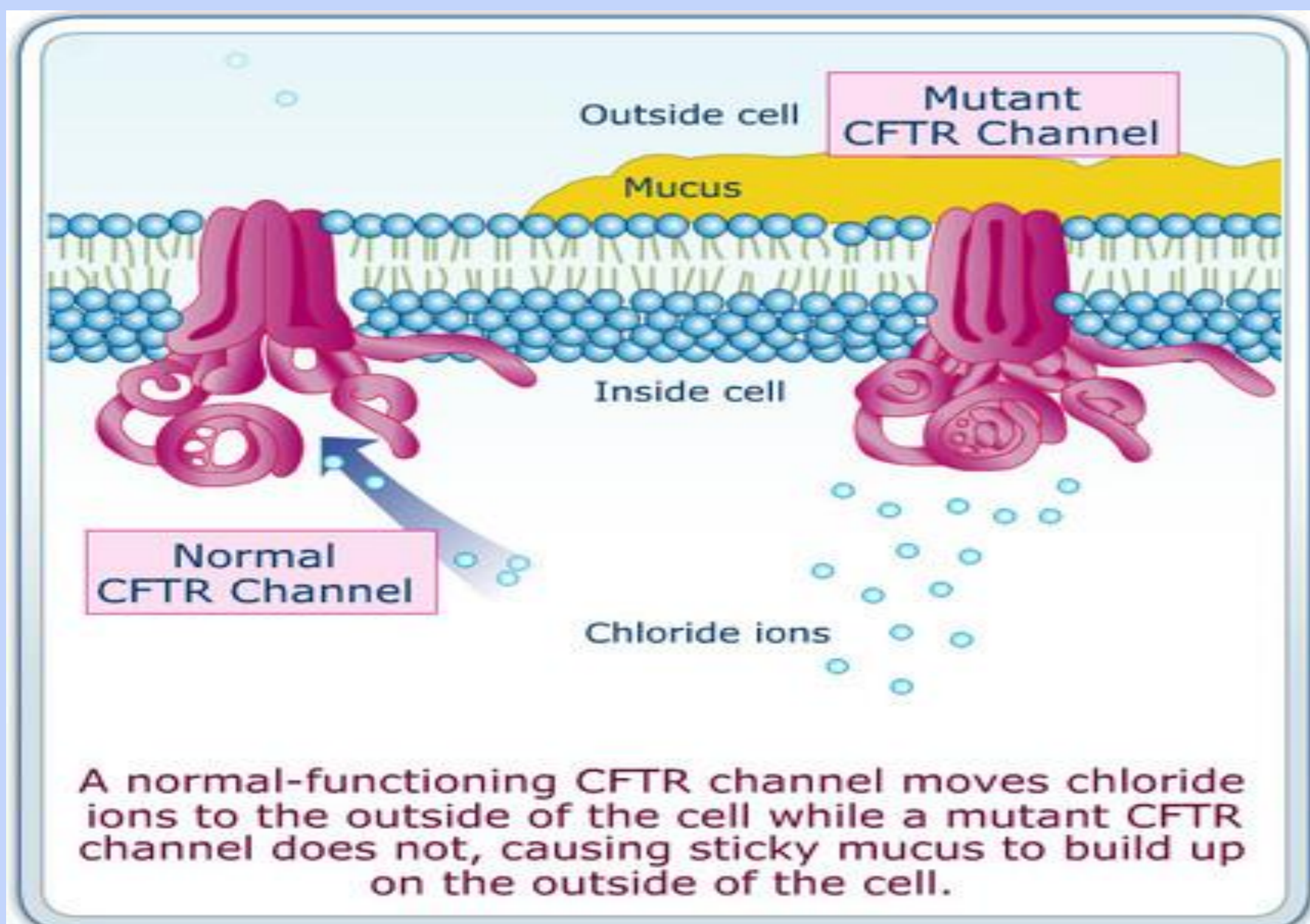


METODI

Prima dell'ottenimento dell'AIC è stato istituito un programma di Uso Compassionevole, secondo criteri di inclusione stringenti, che ha costituito una possibilità precoce di trattamento per i pazienti. Sono stati quindi analizzati i trattamenti ad Uso Compassionevole approvati dal Comitato Etico nel periodo 2019/2020, con particolare riferimento ai follow up clinici successivi, quando l'associazione è stata immessa in commercio con riconoscimento dell'innovatività piena.

RISULTATI

Nel periodo analizzato sono stati approvati dal Comitato Etico 10 trattamenti ad uso compassionevole per pazienti di età ≥ 12 anni affetti da Fibrosi Cistica eterozigoti per mutazioni F508del e mutazione a funzione minima (MF). Con la collaborazione del Centro Hub Fibrosi Cistica è stato possibile analizzare i follow up clinici, da cui è emerso che il 99% dei casi, alla chiusura del programma di Uso Compassionevole, in virtù del beneficio della terapia ha proseguito col regime di erogazione previsto dalla normale pratica clinica. Un solo paziente ha interrotto il trattamento per decesso. Al momento della nostra rilevazione, i 9 pazienti proseguono con beneficio la terapia attraverso prescrizione nel Registro di Monitoraggio AIFA e accesso al fondo AIFA in virtù dell'Innovatività.



DISCUSSIONE E CONCLUSIONI

L'analisi dei trattamenti ad Uso Compassionevole con relativo follow up ha dimostrato come l'accesso precoce alle terapie sperimentali sia di fatto un'opportunità terapeutica valida per i pazienti. Nel caso specifico l'indicazione oggetto dell'Uso Compassionevole è stata valutata, all'ottenimento dell'AIC, come "innovativa" con innovatività piena per bisogno terapeutico, valore terapeutico e robustezza delle prove scientifiche a ulteriore conferma dell'importanza della terapia nel panorama terapeutico di una patologia come la Fibrosi Cistica, altamente invalidante.