



AGENZIA REGIONALE SANITARIA

Settore Assistenza Farmaceutica,
Protesica, Dispositivi Medici
Il Dirigente

Alle Direzioni Sanitarie AST**Alla Direzione Sanitaria A.O.U. delle Marche****Alla Direzione Sanitaria INRCA Ancona****e, p.c. Ai Responsabili dei Servizi Farmaceutici Territoriali e Ospedalieri****LORO SEDI**

Oggetto: Inserimento in PTOR delle nuove indicazioni del farmaco KALYDECO® (Ivacaftor).

Nella Gazzetta Ufficiale n. 181 del 06/08/2025 è stata pubblicata la determina AIFA n. 1023/2025 “Regime di rimborsabilità e prezzo a seguito di nuove indicazioni terapeutiche di medicinali, classificazione di specialità medicinali e rinegoziazione di medicinali ai sensi dell’art. 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537” del medicinale KALYDECO.

Le nuove indicazioni terapeutiche rimborsate sono:

- Kalydeco granulato è indicato in un regime di associazione con Kaftrio (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 F508del nel gene regolatore di conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR) - relativamente alle confezioni aventi codice AIC n. 043519089 e 043519091;
- Kalydeco granulato è indicato in monoterapia per il trattamento di bambini tra 1 mese e minore di 4 mesi di età con peso corporeo da 3 kg affetti da fibrosi cistica (FC), che hanno una mutazione R117H CFTR o una delle seguenti mutazioni di gating (di classe III) nel gene CFTR: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R - relativamente alle confezioni aventi codice AIC n. 043519103 e 043519115.

Le formulazioni rimborsate sono le seguenti:

- AIC 043519089 - 59,5 mg - granulato - uso orale - 28 bustine;
- AIC 043519091 - 75 mg - granulato - uso orale - 28 bustine;
- AIC 043519103 - 13,4 mg - granulato - uso orale - 28 bustine;
- AIC 043519115 - 13,4 mg - granulato - uso orale - 56 bustine.

La classe di rimborsabilità è A/PHT; la classificazione ai fini della fornitura è: medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, vendibile al pubblico su prescrizione di centri di cura della fibrosi cistica (RRL).

All’indicazione terapeutica negoziata “Kalydeco granulato è indicato in un regime di associazione con Kaftrio (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 F508del nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR) (genotipo F/F) o eterozigoti con una mutazione a funzione minima (genotipo F/MF)” viene attribuito il requisito dell’innovatività terapeutica.

Il farmaco è inserito in PTOR per le nuove indicazioni rimborsate.

È istituito un registro di monitoraggio AIFA dedicato e, ai fini della prescrizione a carico del SSN, si **autorizza il Centro Fibrosi Cistica dell’AOU delle Marche.**



AGENZIA REGIONALE SANITARIA

*Settore Assistenza Farmaceutica,
Protesica, Dispositivi Medici
Il Dirigente*

Regione Marche



È chiuso il Registro dedicato al monitoraggio dell'uso del medicinale KALYDECO per le indicazioni ammesse alla rimborsabilità:

- Kalydeco in compresse è indicato in monoterapia per il trattamento di adulti, adolescenti e bambini di età pari e superiore a 6 anni e di peso pari o superiore a 25 kg affetti da fibrosi cistica (FC), che hanno una mutazione R117H CFTR o una delle seguenti mutazioni di gating (di classe III) nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR): G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R;
- Kalydeco in compresse è indicato in un regime di associazione con tezacaftor/ivacaftor compresse per il trattamento di adulti, adolescenti e bambini di età pari e superiore a 6 anni affetti da fibrosi cistica (FC), omozigoti per la mutazione F508del o eterozigoti per la mutazione F508del e che presentano una delle seguenti mutazioni nel gene CFTR: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G e 3849+10kbC→T;
- Kalydeco granulato è indicato in monoterapia per il trattamento di bambini di almeno 4 mesi di età e con peso corporeo da 5 kg a meno di 25 kg affetti da fibrosi cistica (FC), che hanno una mutazione R117H CFTR o una delle seguenti mutazioni di gating (di classe III) nel gene CFTR: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R.

Si coglie l'occasione per comunicare che la presente nota potrà essere scaricata dal sito web dell'ARS Marche al seguente link: <https://www.regione.marche.it/ars/Aree-di-Attivit%C3%A0/Assistenza-Farmaceutica-e-Protesica/Centri-autorizzati-alla-diagnosi-e-prescrizione>.

Cordiali saluti.

Il Dirigente del Settore
(Chiara Rossi)

Documento informatico firmato digitalmente ai sensi del D.Lgs n. 82/2005 s.m.i. e norme collegate, il quale sostituisce il documento cartaceo e la firma autografa