

FIBROSI CISTICA L'Abruzzo è la prima Regione in Italia a poter utilizzare un farmaco approvato negli U.S.A.

Il **Centro di Riferimento Regionale per la Fibrosi Cistica** della **ASL di Teramo**, sito presso l'Ospedale di Atri e diretto dal **Dr. Paolo Moretti**, ha ottenuto un'autorizzazione speciale all'uso di Kalydeco®, un farmaco che promette di curare le cause alla base della malattia.

Il medicinale, prodotto dalla Vertex Pharmaceuticals Incorporated, è attualmente approvato in Nord America, Europa e Australia e la casa produttrice, nel corso dell'ultima Conferenza Annuale Americana sulla Fibrosi Cistica, tenutasi ad Atlanta nello scorso mese di ottobre, ha presentato i promettenti risultati di numerosi studi clinici che hanno testato il Kalydeco® in monoterapia o in associazione con altri farmaci attualmente già in uso per la cura della FC.

Il farmaco, molto costoso e **già utilizzato in Italia solo per uso compassionevole** in pazienti con condizioni cliniche compromesse, **verrà erogato per la prima volta in Italia ad un piccolo paziente abruzzese di 12 anni** che presenta una "mutazione gating non-G551D", grazie alla solerte autorizzazione della **Direzione Aziendale della ASL di Teramo** e dell'**Assessorato alla Sanità della Regione Abruzzo**, previa richiesta all'AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco).

La Fibrosi Cistica, detta anche mucoviscidosi, è una malattia genetica ereditaria che colpisce un neonato su 2550 -2700, il 4% della popolazione ne è portatore sano ed in Italia si registrano circa 200 nuovi casi all'anno. A causare la malattia è un difetto della proteina CFTR, la cui funzione è quella di controllare gli scambi idroelettrici. Ad essere colpiti dagli effetti della malattia sono principalmente l'apparato respiratorio, le vie aeree, il pancreas, il fegato e l'apparato riproduttivo.

Le cure attualmente in uso sono molto complesse e consistono principalmente in fisioterapia e riabilitazione respiratoria, nutrizione specifica, antibioticoterapia, terapia cortisonica e antinfiammatoria. Da diversi anni inoltre i pazienti più gravi possono usufruire del trapianto di organi, in genere polmoni e fegato.

Il nuovo farmaco, invece, tratterà la causa alla base della Fibrosi Cistica e produrrà benefici significativi sulle persone che presentano mutazioni di "gating" della proteina CFTR, come quella che affligge il piccolo paziente in cura dal **Dr. Paolo Moretti**: *"Sono molto compiaciuto che il nostro Centro sia stato autorizzato ad usare questo farmaco straordinario e ringrazio il **Dr. Maurizio Turchetti** della Farmacia Ospedaliera di Teramo, la Direzione della ASL di Teramo e la Regione Abruzzo che si sono fatte parte attiva del complesso procedimento di autorizzazione. In questo caso **siamo diventati Regione pilota** per altre che stanno seguendo il nostro esempio. I genitori del nostro piccolo paziente sono molto contenti di questa scelta terapeutica, sulla quale riponiamo tutti grandi speranze."*

Direzione Generale

ASL Teramo

Teramo 11.11.2014