

Η Vertex ανακοίνωσε την Νέα Συμφωνία Αποζημίωσης στην Ελλάδα του συνδυασμού σχήματος ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor, με ivacaftor και lumacaftor/ivacaftor για τους επιλέξιμους ασθενείς με Κυστική Ίνωση.

Αθήνα – 16 Ιανουαρίου 2023 – Η Vertex Ελλάδος, ανακοίνωσε ότι το συνδυαστικό σχήμα ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor, με ivacaftor και το σχήμα lumacaftor/ivacaftor για τη θεραπευτική αγωγή της Κυστικής Ίνωσης, θα αποζημιώνεται από το Υπουργείο Υγείας.

Με την εισαγωγή στην θετική λίστα αποζημιούμενων φαρμάκων, το συνδυαστικό σχήμα ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor σε συνδυαστική αγωγή με το ivacaftor, θα αποζημιώνεται για τη θεραπεία σε επιλέξιμους ασθενείς με Κυστική Ίνωση από 12 χρονών και άνω, οι οποίοι έχουν τουλάχιστον μία μετάλλαξη F508del στο γονίδιο του ρυθμιστή διαμεμβρανικής αγωγιμότητας της κυστικής ίνωσης (CFTR), και το lumacaftor/ivacaftor για τη θεραπεία επιλέξιμων ασθενών άνω των 2 ετών με Κυστική Ίνωση, οι οποίοι έχουν δύο αντίγραφα F508del στο γονίδιο (CFTR) (F/F).

«Η σημερινή ανακοίνωση αποτελεί σημαντικό ορόσημο που διασφαλίζει ότι περίπου 500 Έλληνες ασθενείς, συμπεριλαμβανομένων παιδιών ηλικίας από την ηλικία των δύο ετών, που ζουν με κυστική ίνωση, θα συνεχίσουν να έχουν έγκαιρη και βιώσιμη πρόσβαση σε καινοτόμες θεραπείες και φάρμακα με δυνατότητα επιβράδυνσης της εξέλιξης της νόσου. Η σημαντική αξία των νέων θεραπειών έχει αντίκτυπο όχι μόνο στους ασθενείς με κυστική ίνωση, αλλά και τους φροντιστές τους, και στο σύνολο της κοινωνίας», δήλωσε ο κ. **Παναγιώτης Νικάκης**, Γενικός Διευθυντής της Vertex Ελλάδος.

Με την ολοκλήρωση της διαδικασίας για την επίσημη αποζημίωση, η Ελλάδα είναι μία από τις 40 χώρες, συμπεριλαμβανομένων της Αυστραλίας, Καναδά, Δανίας, Φινλανδία, Ισπανία, Γερμανία, Αυστρία, Σλοβενία, Κροατία, Γαλλία, Ιταλία, Ηνωμένο Βασίλειο και Νέα Ζηλανδία, όπου αποζημιώνεται σε μεγάλο βαθμό η θεραπεία με διαμορφωτές CFTR.

Σχετικά με την Κυστική Ίνωση

Η κυστική ίνωση (ΚΙ) είναι μια σπάνια γενετική ασθένεια που μειώνει το προσδόκιμο ζωής και επηρεάζει περισσότερους από 88.000 ανθρώπους παγκοσμίως. Η ΚΙ είναι μια προοδευτική νόσος που επηρεάζει πολλά όργανα, προσβάλλοντας τους πνεύμονες, το ήπαρ, το πάγκρεας, το γαστρεντερικό σωλήνα, τα ιγμόρεια, τους ιδρωτοποιούς αδένες και το αναπαραγωγικό σύστημα. Η ΚΙ προκαλείται από ελαττωματική ή/και έλλειψη πρωτεΐνης CFTR που προκύπτει από ορισμένες μεταλλάξεις στο γονίδιο *CFTR*. Τα παιδιά πρέπει να κληρονομήσουν δύο ελαττωματικά γονίδια *CFTR* - ένα από έκαστο γονέα - για να έχουν ΚΙ και αυτές οι μεταλλάξεις μπορούν να εντοπιστούν με ένα γενετικό τεστ. Ενώ υπάρχουν πολλοί διαφορετικοί τύποι μεταλλάξεων *CFTR* που μπορούν να προκαλέσουν τη νόσο, η συντριπτική πλειοψηφία των ατόμων με ΚΙ έχουν τουλάχιστον μία μετάλλαξη *F508del*. Οι μεταλλάξεις *CFTR* οδηγούν σε ΚΙ προκαλώντας ελάττωμα στην πρωτεΐνη CFTR ή οδηγώντας σε έλλειψη ή απουσία της πρωτεΐνης CFTR στην κυτταρική επιφάνεια. Η ελαττωματική λειτουργία και/ή η απουσία της πρωτεΐνης CFTR έχει ως αποτέλεσμα κακή ροή άλατος και νερού εντός κι εκτός των κυττάρων σε έναν αριθμό οργάνων. Στους πνεύμονες, αυτό οδηγεί στη συσσώρευση ασυνήθιστα παχύρρευστης, κολλώδους βλέννας,

σε χρόνιες πνευμονικές λοιμώξεις και προοδευτική βλάβη των πνευμόνων που τελικά οδηγεί σε θάνατο για πολλούς ασθενείς. Η διάμεση ηλικία θανάτου είναι λίγο μετά το 30^ο έτος ζωής.

Σχετικά με το elxacaftor/tezacaftor/ivacaftor σε συνδυασμό με ivacaftor

Σε άτομα με ορισμένους τύπους μεταλλάξεων στο γονίδιο *CFTR*, η πρωτεΐνη CFTR δεν υφίσταται κανονική επεξεργασία και αναδίπλωση εντός του κυττάρου και αυτό μπορεί να εμποδίσει την πρωτεΐνη CFTR να φτάσει στην κυτταρική επιφάνεια και να λειτουργήσει σωστά. Ο συνδυασμός ivacaftor με elxacaftor/tezacaftor/ivacaftor και ivacaftor, είναι ένα από του στόματος φάρμακο σχεδιασμένο να αυξάνει την ποσότητα και τη λειτουργία της πρωτεΐνης CFTR στην κυτταρική επιφάνεια. Το Elxacaftor και το Tezacaftor συνεργάζονται για να αυξήσουν την ποσότητα της ώριμης πρωτεΐνης στην κυτταρική επιφάνεια. Το Ivacaftor, το οποίο είναι γνωστό ως ενισχυτής δράσης της CFTR, έχει σχεδιαστεί για να διευκολύνει την ικανότητα των πρωτεϊνών CFTR να μεταφέρουν άλας και νερό μέσω της κυτταρικής μεμβράνης. Οι συνδυασμένες δράσεις των elxacaftor, tezacaftor και ivacaftor βοηθούν στην ενυδάτωση των αεραγωγών και την απομάκρυνση της βλέννας από αυτούς.

Η θεραπεία με συνδυασμό σχήματος elxacaftor/tezacaftor/ivacaftor με ivacaftor είναι εγκεκριμένη στην Ευρωπαϊκή Ένωση για τη θεραπεία της κυστικής ίνωσης (ΚΙ) σε ασθενείς ηλικίας 12 ετών και άνω που έχουν τουλάχιστον ένα αντίγραφο της μετάλλαξης *F508del*, στο γονίδιο *CFTR*.

Για πλήρεις πληροφορίες προϊόντος, ανατρέξτε στην Περίληψη των Χαρακτηριστικών Προϊόντος που μπορείτε να βρείτε

Σχετικά με το lumacaftor/ivacaftor

Σε ασθενείς με δύο αντίγραφα της μετάλλαξης *F508del*, η πρωτεΐνη CFTR δεν υποβάλλεται σε επεξεργασία και διακινείται κανονικά εντός του κυττάρου, με αποτέλεσμα να υπάρχει μικρή έως καθόλου πρωτεΐνη CFTR στην κυτταρική επιφάνεια.

Ο συνδυασμός lumacaftor/ivacaftor είναι ένα φάρμακο που λαμβάνεται από το στόμα. Το Lumacaftor, ένας διαμορφωτής CFTR γνωστός ως διορθωτής, έχει σχεδιαστεί για να αυξάνει την ποσότητα της ώριμης πρωτεΐνης στην κυτταρική επιφάνεια στοχεύοντας το ελάττωμα επεξεργασίας και διακίνησης της πρωτεΐνης *F508del*-CFTR. Το Ivacaftor, το οποίο είναι γνωστό ως ενισχυτής CFTR, έχει σχεδιαστεί για να αποκαθιστά την ικανότητα των πρωτεϊνών CFTR να μεταφέρουν αλάτι και νερό μέσω της κυτταρικής μεμβράνης. Οι συνδυασμένες δράσεις του διορθωτή CFTR και του ενισχυτή βοηθούν στην ενυδάτωση και την απομάκρυνση της βλέννας από τους αεραγωγούς.

Για πλήρεις πληροφορίες προϊόντος, ανατρέξτε στην Περίληψη των Χαρακτηριστικών Προϊόντος που μπορείτε να βρείτε [ΕΔΩ](#)

Σχετικά με το ivacaftor

Σε άτομα με ορισμένους τύπους μεταλλάξεων στο γονίδιο *CFTR*, η πρωτεΐνη CFTR στην κυτταρική επιφάνεια δεν λειτουργεί σωστά. Γνωστό ως ενισχυτής CFTR, το ivacaftor είναι ένα από του στόματος φάρμακο που έχει σχεδιαστεί για να αποκαθιστά την ικανότητα των πρωτεϊνών CFTR να μεταφέρουν αλάτι και νερό μέσω της κυτταρικής μεμβράνης, το οποίο βοηθά στην ενυδάτωση και την απομάκρυνση της βλέννας από τους αεραγωγούς. Το ivacaftor ήταν το πρώτο φάρμακο για τη θεραπεία της υποκείμενης αιτίας της ΚΙ σε άτομα με συγκεκριμένες μεταλλάξεις στο γονίδιο *CFTR*.

Για πλήρεις πληροφορίες προϊόντος, ανατρέξτε στην Περίληψη των Χαρακτηριστικών Προϊόντος που μπορείτε να βρείτε [ΕΔΩ](#)

Σχετικά με τη Vertex

Η Vertex είναι μια παγκόσμια εταιρεία βιοτεχνολογίας που επενδύει στην επιστημονική καινοτομία για τη δημιουργία μετασχηματιστικών φαρμάκων για άτομα με σοβαρές ασθένειες. Η εταιρεία διαθέτει πολλαπλά εγκεκριμένα φάρμακα που θεραπεύουν την υποκείμενη αιτία της κυστικής ίνωσης (ΚΙ) —μια σπάνια, απειλητική για τη ζωή γενετική ασθένεια— και έχει πολλά συνεχιζόμενα κλινικά και ερευνητικά προγράμματα για την ΚΙ. Πέρα από την κυστική ίνωση, η Vertex διαθέτει μια ισχυρή σειρά ερευνητικών μικρών μορίων, κυτταρικών και γενετικών θεραπειών σε άλλες σοβαρές ασθένειες όπου έχει βαθιά γνώση της αιτιολογικής ανθρώπινης βιολογίας, όπως η δρεπανοκυτταρική αναιμία, η βήτα θαλασσαιμία, η νεφρική νόσος που σχετίζεται με το γονίδιο APOL1, ο πόνος, ο διαβήτης τύπου 1, η ανεπάρκεια άλφα-1 αντιθρυψίνης και η μυϊκή δυστροφία Duchenne.

Η έδρα της Vertex, η οποία ιδρύθηκε το 1989 στο Κέιμπριτζ της Μασαχουσέτης, βρίσκεται στην Περιοχή Καινοτομίας της Βοστώνης ενώ τα κεντρικά γραφεία για τις διεθνείς δραστηριότητές της βρίσκονται στο Λονδίνο, Ηνωμένο Βασίλειο. Επιπλέον, η εταιρεία διαθέτει τοποθεσίες έρευνας και ανάπτυξης και εμπορικά γραφεία στη Βόρεια Αμερική, την Ευρώπη, την Αυστραλία και τη Λατινική Αμερική. Η Vertex αναγνωρίζεται σταθερά ως μία από τις κορυφαίες θέσεις εργασίας του κλάδου, συμπεριλαμβανομένων 13 συνεχόμενων ετών στη λίστα Κορυφαίων Εργοδοτών του περιοδικού Science και στη λίστα του περιοδικού Fortune, ως μια από τις κορυφαίες εταιρείες με το Καλύτερο Εργασιακό περιβάλλον στον χώρο των Φαρμακευτικών και εταιρειών Βιοτεχνολογίας.

Vertex Pharmaceuticals:

Edoardo Iannone, [Edoardo Iannone@vrtx.com](mailto:Edoardo.Iannone@vrtx.com)

IKON:

Έλια Καλλία, +30 210 6784 350, ekallia@ikon.bbdogroup.gr