

Vertex anuncia un acuerdo de financiación en España para la indicación ampliada en niños de uno de sus medicamentos contra la fibrosis quística que se dirige a la causa subyacente de la enfermedad

- *Con este acuerdo, más de 260 niños con fibrosis quística de entre 6 y 11 años tendrán ahora acceso financiado a un tratamiento con moduladores del CFTR por primera vez en España*

Madrid, 21 de octubre de 2022 – [Vertex Pharmaceuticals](#) anuncia que el Gobierno español ha aprobado los términos para la financiación de la indicación ampliada de KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) en combinación con ivacaftor para el tratamiento de la fibrosis quística (FQ) en pacientes de 6 a 11 años de edad que tienen al menos una mutación *F508del* en el gen regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística (*CFTR*). Hasta ahora, el reembolso se limitaba a personas con FQ de 12 años y mayores. El tratamiento de combinación triple será financiado cuando sea prescrito por los profesionales médicos, dentro de la nueva indicación, una vez que se haya incluido en el Nomenclátor del Sistema Nacional de Salud.

“En Vertex, una de las claves de nuestro trabajo en I+D es continuar desarrollando y proporcionando tratamientos que cubran las necesidades de diferentes grupos de edad, incluidos los niños. Por ello, estamos muy contentos de haber logrado este importante hito para los jóvenes pacientes con FQ y sus cuidadores”, señala Marcio Machado, director general de Vertex Pharmaceuticals en España y Portugal. “Nos complace que el Ministerio de Sanidad haya reconocido el valor de este tratamiento innovador para los niños con FQ y les estamos muy agradecidos por el enfoque colaborativo para llegar a este acuerdo”, concluye Machado.

Para obtener información completa sobre este medicamento, consulte el resumen de las características del producto, que se puede encontrar en www.ema.europa.eu.

Acerca de la fibrosis quística

La fibrosis quística (FQ) es una enfermedad genética, rara que acorta la vida y que afecta a más de 83.000 personas en todo el mundo. Unas 49.000 personas con FQ viven en Europa y

unas 2.700 personas en España. La FQ es una enfermedad progresiva que afecta a múltiples órganos, entre ellos, los pulmones, el hígado, el páncreas, el tracto gastrointestinal, los senos nasales, las glándulas sudoríparas y el tracto reproductivo. La FQ es causada por una proteína CFTR defectuosa y/o faltante como resultado de ciertas mutaciones en el gen *CFTR*. Los niños deben heredar dos genes *CFTR* defectuosos, uno de cada padre, para tener FQ, y estas mutaciones pueden identificarse mediante una prueba genética. Si bien existen muchos tipos diferentes de mutaciones de *CFTR* que pueden causar la enfermedad, la gran mayoría de las personas con FQ tienen al menos una mutación *F508del*. Las mutaciones de *CFTR* conducen a la fibrosis quística a hacer que la proteína CFTR sea defectuosa o a provocar una escasez o ausencia de la proteína CFTR en la superficie celular. La función defectuosa y/o la ausencia de la proteína CFTR da como resultado un flujo deficiente de sal y agua dentro y fuera de las células en varios órganos. En los pulmones, esto conduce a la acumulación de mucosidad pegajosa y anormalmente espesa, infecciones pulmonares crónicas y daño pulmonar progresivo que, eventualmente, cause la muerte de muchos pacientes. La esperanza de vida es, aproximadamente, de 30 años.

Acerca de Vertex

Vertex es una compañía global de biotecnología que invierte en innovación científica para crear medicamentos transformadores para personas con enfermedades graves. La compañía cuenta con varios medicamentos aprobados que tratan la causa subyacente de la fibrosis quística (FQ), una enfermedad genética, rara y potencialmente mortal, y cuenta con varios programas clínicos y de investigación en curso sobre la FQ. Más allá de la FQ, Vertex tiene una sólida cartera de medicamentos de molécula pequeña y terapias celulares y genéticas en investigación en otras enfermedades graves, en las que tiene un conocimiento profundo de la biología humana causal, incluido la enfermedad de células falciformes, betatalasemia, enfermedad renal mediada por variantes del gen *APOL1*, dolor, diabetes mellitus tipo 1, deficiencia de alfa-1 antitripsina y distrofia muscular de Duchenne.

Fundada en 1989 en Cambridge, Massachusetts., la sede global de Vertex se encuentra ahora en el Distrito de Innovación de Boston y su sede internacional se ubica en Londres. Además, la compañía cuenta con centros de investigación y desarrollo y oficinas comerciales en

América del Norte, Europa, Australia y América Latina. Vertex ha recibido el reconocimiento como uno de los mejores lugares para trabajar de la industria, incluso ha sido incluido durante 12 años consecutivos en la lista de *Top Employers* de la revista *Science*, una de las 100 mejores empresas de 2021 de Seramount (antes *Working Mother Media*)

Contacto para los medios de comunicación:
Omnicom PR Group: Pilar Piqueras y Sara Portillo
Vertex.team@omnicomprgroup.com
91 91 42 700