



**Direzione Regionale Salute e Integrazione Sociosanitaria**  
**Area Farmaci e Dispositivi - GR/39/21**

Ai Direttori generali e  
Commissari straordinari di:

- Aziende USL
- Aziende Ospedaliere
- Policlinici Universitari
- IRCCS
- Ospedali ex classificati

Oggetto: farmaco Ivacaftor (KALYDECO®) - fibrosi cistica – aggiornamento note prot. 284597 del 25.05.2015, GR3921\_000011 del 19.08.2021 e 69566 del 25.01.2022 e chiusura Registro AIFA on line

Con la Determina AIFA n. PRES/1023/2025 (come da avviso in G.U. n. 181 del 06.08.2025) è stata estesa l'erogazione a carico del SSN del medicinale Kalydeco (ivacaftor) ai bambini tra 1 mese e minori di 4 mesi di età:

- 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*.

Il farmaco Kalydeco, per l'indicazione soprariportata, è soggetto a prescrizione da parte degli specialisti afferenti ai seguenti Centri:

1. Policlinico Umberto I
2. Ospedale Pediatrico Bambino Gesù

L'erogazione del farmaco Kalydeco, per l'indicazione soprariportata, è a carico della ASL di residenza dell'assistito.

Si comunica inoltre che a partire dal 07.08.2025 è terminato il monitoraggio del Registro AIFA on line per il farmaco Kalydeco per le indicazioni terapeutiche riportate nelle note in oggetto. Si ricorda che il clinico potrà procedere alla compilazione della scheda di fine trattamento selezionando la voce "Chiusura Monitoraggio" presente tra le cause di fine trattamento.

La Dirigente dell'Area  
Marzia Mensurati

Il Direttore  
Andrea Urbani

A.T. 29 08 2025