



**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

e, p.c., al Direttore generale dell'AIFA

Oggetto: farmaco lumacaftor + ivacaftor (ORKAMBI® - Vertex) – fibrosi cistica – nuova indicazione

Con la Determina AIFA n. 28 del 04.03.2024, pubblicata sulla Gazzetta Ufficiale n. 62 del 14.03.2024, è stata autorizzata l'erogazione a carico del SSN del medicinale Orkambi per la seguente nuova indicazione terapeutica:

- Orkambi granulato è indicato per il trattamento della fibrosi cistica (FC), in bambini di età pari o superiore a 1 anno omozigoti per la mutazione F508del nel gene CFTR.

Il farmaco Orkambi, per l'indicazione soprariportata, è soggetto a prescrizione (tramite piano terapeutico on line AIFA) da parte degli specialisti afferenti ai seguenti Centri:

1. Policlinico Umberto I
2. Ospedale Pediatrico Bambino Gesù

L'erogazione diretta del farmaco è a carico della Asl di residenza dell'assistito.

Il farmaco Orkambi è già presente in File F.

La Dirigente dell'Area

Marzia Mensurati

Il Direttore  
Andrea Urbani

A.T. 05/04/2024