

Rapporto sintetico di omologazione del 16.02.2026

Trikafta® (principi attivi: elexacaftor, ivacaftor, tezacaftor)

Estensione dell'indicazione in Svizzera: 05.11.2025

Comprese rivestite con film per il trattamento della fibrosi cistica

Informazioni sul medicamento

Il medicamento Trikafta contiene i principi attivi elexacaftor, ivacaftor e tezacaftor.

Trikafta è stato omologato da Swissmedic il 10 dicembre 2020 per il trattamento di pazienti di età pari o superiore a 12 anni di età, che sono affette/i da fibrosi cistica con una mutazione su due cromosomi¹, la cosiddetta mutazione F508del, oppure che, oltre a un difetto F508del, presentano sul secondo cromosoma un difetto che porta alla mancata formazione della proteina CFTR², (la cosiddetta «mutazione a funzione minima»).

Il 14 settembre 2021 è stata omologata l'estensione dell'indicazione per Trikafta, in modo da poter trattare le pazienti e i pazienti di età pari o superiore a 12 anni affetti da fibrosi cistica con una mutazione F508del, indipendentemente dalla mutazione sul secondo cromosoma.

Il 5 gennaio 2022 è stata omologata un'altra estensione dell'indicazione per il trattamento di pazienti di età pari o superiore a 6 anni.

Con la terza estensione dell'indicazione di Trikafta, omologata da Swissmedic il 13 giugno 2024, ora si possono trattare anche pazienti con fibrosi cistica, che presentano almeno una mutazione F508del nel gene CFTR, di età pari o superiore a 2 anni.

Il 5 novembre 2025 è stata approvata un'ulteriore estensione dell'indicazione per Trikafta. Ora è possibile trattare anche pazienti con fibrosi cistica che presentano altre mutazioni del CFTR le quali rispondono a Trikafta.

La fibrosi cistica è una malattia genetica causata dalla carenza e/o dal malfunzionamento del gene CFTR. Il gene CFTR controlla la formazione (codifica) di una proteina utilizzata per il trasporto di acqua e sale. La proteina CFTR è nota anche come canale del cloro e si trova sulla superficie delle cellule. Tramite questo canale, il cloro può uscire dalla cellula. La disfunzione della proteina CFTR può provocare, tra le altre cose, la formazione di

¹ Cromosomi: i cromosomi sono i portatori dell'informazione genetica e si trovano nei nuclei delle cellule.

² CFTR: Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator (regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica)

muco denso nei polmoni e nel pancreas, e determinare un aumento della concentrazione di cloro nel sudore.

Esistono diverse mutazioni del gene CFTR che possono causare la fibrosi cistica. Tuttavia, non tutte le mutazioni del gene CFTR portano a una malattia con sintomi di fibrosi cistica. La più comune è la mancata codifica della fenilalanina (F508del). Circa il 45% delle pazienti e dei pazienti affetti da fibrosi cistica ha un difetto di questo tipo in ogni cromosoma di

entrambi i patrimoni cromosomici, che provoca un'importante disfunzione del CFTR e quindi una grave fibrosi cistica. Esiste inoltre una serie di altre mutazioni che compromettono il funzionamento del CFTR in svariati modi e in diversa misura.

Poiché la fibrosi cistica è una malattia rara potenzialmente letale, l'estensione dell'indicazione per il medicamento Trikafta è stata omologata come «medicamento orfano». Sono definiti «orfani» i medicinali importanti per malattie rare.

Meccanismo d'azione

I principi attivi tezacaftor ed elexacaftor contenuti in Trikafta sono i cosiddetti correttori di CFTR che si legano a siti diversi della proteina CFTR. I principi attivi possono migliorare la formazione di proteine CFTR e il loro trasporto verso la superficie della cellula. Il principio attivo ivacaftor aiuta a migliorare la funzione del canale CFTR sulla superficie della cellula.

L'effetto combinato di elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor migliora la funzionalità e aumenta la quantità della proteina CFTR sulla superficie della cellula, con conseguente aumento dell'attività di CFTR.

Grazie al meccanismo d'azione di questi tre principi attivi combinati, il medicamento Trikafta allevia i sintomi associati alla fibrosi cistica.

Non viene curato il difetto genetico alla base.

Impiego

Trikafta è soggetto a prescrizione medica e contiene diverse compresse rivestite con film o granulato in bustina (dose del mattino e dose della sera). La dose del mattino contiene le sostanze attive elexacaftor, ivacaftor e tezacaftor, combinate in una compressa/bustina di granulato. La dose della sera contiene solo il principio attivo ivacaftor.

Il dosaggio viene adeguato all'età e al peso delle pazienti e dei pazienti.

Per persone adulte nonché bambine e bambini di età pari o superiore a 6 anni, la posologia usuale è: al mattino 2 compresse rivestite con film e alla sera 1 compressa rivestita con film. Per bambine e bambini di età tra i 2 e i 6 anni la dose abituale è di 1 bustina di granulato al mattino e 1 bustina di granulato alla sera. Tra l'assunzione della dose della mattina e quella della dose della sera devono trascorrere circa 12 ore.

Le compresse non devono essere rotte, masticate o disciolte e devono essere assunte con un pasto contenente grassi.

Efficacia

Uno studio clinico (studio 445-124) ha valutato l'efficacia di Trikafta per il trattamento di pazienti senza mutazione F508del. Allo studio hanno partecipato 307 pazienti con fibrosi cistica. Le persone partecipanti presentavano una mutazione del CFTR che risponde a Trikafta e hanno ricevuto una dose

del medicamento in base all'età e al peso. Lo studio ha mostrato che, rispetto al placebo, il trattamento con Trikafta ha migliorato la funzione polmonare e la concentrazione di cloruro nel sudore.

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

Trikafta non deve essere usato in caso di ipersensibilità a uno dei principi attivi o a una qualsiasi sostanza ausiliaria.

Gli effetti indesiderati più frequenti di Trikafta (interessano più di 1 persona su 10) sono eruzione cutanea, infezioni delle vie respiratorie superiori, naso chiuso, mal di gola, mal di stomaco o dolori addominali, diarrea, capogiro, cefalea, modifica del tipo di batteri

contenuti nel muco e valori elevati degli enzimi epatici (segno di stress epatico).

Tutte le misure precauzionali, i rischi e altri possibili effetti indesiderati sono elencati nell'informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo) e nell'informazione professionale.

Motivazione della decisione di omologazione

La terapia con Trikafta risponde a un importante fabbisogno medico, perché offre una possibilità di trattamento a pazienti con alcune rare mutazioni del CFTR le quali finora non disponevano di una terapia con modulatori del CFTR omologata.

I dati clinici dimostrano che il medicamento migliora la funzione polmonare in pazienti con fibrosi cistica e mutazioni del CFTR che rispondono a Trikafta.

Tenendo conto di tutti i rischi e delle misure precauzionali e sulla base dei dati disponibili, i benefici di Trikafta superano i rischi. Swissmedic ha pertanto omologato per la Svizzera il medicamento Trikafta con i principi attivi elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor, per il trattamento di pazienti di età pari o superiore a 2 anni con fibrosi cistica (FC), che presentano almeno una mutazione F508del o un'altra mutazione nel gene CFTR che risponde a Trikafta.

Maggiori informazioni sul medicamento

Informazione per il personale medico-sanitario: [Informazione professionale di Trikafta®](#)

Informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo): [Informazione destinata ai pazienti di Trikafta®](#)

Per altre domande rivolgersi alle/ai professioniste/i della salute.

Lo stato di questa informazione corrisponde a quello dello SwissPAR. Le nuove conoscenze acquisite sul medicamento omologato non sono incluse nel Rapporto sintetico di omologazione.

I medicinali omologati in Svizzera sono monitorati da Swissmedic. In caso di nuovi effetti indesiderati riscontrati o di altri segnali rilevanti per la sicurezza, Swissmedic adotterà le misure necessarie. Swissmedic si occuperà di registrare e pubblicare qualsiasi nuova conoscenza acquisita concernente aspetti che potrebbero compromettere la qualità, l'efficacia o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.