



INNOVATION - ACCÈS COMPASSIONNEL

PUBLIÉ LE 19/05/2022 - MIS À JOUR LE 09/02/2024

Mucoviscidose : le point sur l'accès des patients non porteurs de la mutation F508del à l'association des comprimés pelliculés Kaftrio et Kalydeco

Actualisation du 09/02/2024

Les conditions de mise à disposition de l'association Kaftrio et Kalydéco en comprimés pour le traitement des patients de plus de 6 ans atteints de mucoviscidose et non porteurs de la mutation F508del ont évolué depuis le 5 février 2024.

Les patients peuvent désormais bénéficier de ces médicaments selon deux dispositifs distincts :

- Patients porteurs d'une mutation répondeuse à ivacaftor / tezacaftor / elexacaftor sur la base de données *in vitro* disponibles (voir les mutations concernées dans le [protocole d'utilisation thérapeutique - PUT](#)) : via un [dispositif d'accès précoce](#) (AP), y compris pour les patients jusque-là traités dans un cadre compassionnel ;
- Patients non éligibles à l'AP (excepté ceux qui présentent 2 gènes mutés prédictifs de l'absence de synthèse de protéine CFTR) : via un [cadre de prescription compassionnelle](#) (CPC).

Actualisation du 01/06/2023

Depuis le 1^{er} juin 2023, le [cadre de prescription compassionnelle \(CPC\)](#) associant les médicaments Kaftrio et Kalydeco s'étend aux patients atteints de mucoviscidose non porteurs d'une mutation F508del, dès l'âge de 6 ans et quel que soit le degré de sévérité de la maladie. Le traitement n'est pas indiqué chez les patients qui présentent 2 gènes mutés prédictifs de l'absence de synthèse de la protéine CFTR.

L'élargissement du CPC prend en compte l'évolution des connaissances scientifiques.

Il est toujours recommandé que la prescription du traitement soit soumise à l'avis du centre coordinateur du centre de référence maladie rare (CRMR) mucoviscidose et affections liées à une anomalie de CFTR, selon la pratique clinique actuelle, et que les patients traités dans le cadre de ce CPC soient inscrits dans le registre français de la mucoviscidose.

[Accédez au protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients \(PUT-SP\)](#), qui détaille les modalités d'emploi de Kaftrio 75 mg/50 mg/100 mg comprimé pelliculé, Kaftrio 37,5 mg/25 mg/50 mg comprimé pelliculé, associés respectivement à Kalydeco 150 mg comprimé pelliculé et Kalydeco 75 mg comprimé pelliculé dans les conditions de ce CPC.

Saisie par l'association Vaincre la mucoviscidose et le centre de référence de la mucoviscidose, l'ANSM a établi un [cadre de prescription compassionnelle \(CPC\)](#) qui permet d'utiliser les médicaments Kaftrio et Kalydeco en association dans un cadre sécurisé pour traiter certains patients atteints de mucoviscidose qui, à ce jour, ne sont pas couverts par les autorisations de mise sur le marché (AMM) de ces médicaments et pour lesquels il existe un besoin thérapeutique urgent.

Les patients concernés par ce CPC sont âgés de 12 ans et plus, ne sont pas porteurs de la mutation F508del et présentent une atteinte respiratoire sévère (VEMS < 40% de la valeur prédite) ou un risque d'évolution vers une greffe pulmonaire ou un pronostic vital engagé à plus ou moins court terme.

A ce jour, Kaftrio (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor), associé à Kalydeco (ivacaftor), est indiqué dans le cadre de son AMM uniquement chez les patients atteints de mucoviscidose porteurs d'au moins une mutation F508del du gène CFTR (cystic fibrosis transmembrane conductance regulator).

Le cadre de prescription compassionnelle (CPC) concerne les patients à partir de 12 ans qui ne sont pas porteurs de cette mutation et pour lesquels l'atteinte pulmonaire est sévère.

Le CPC, qui entre en vigueur vendredi 20 mai 2022, prévoit que :

- la prescription initiale est réservée aux médecins hospitaliers expérimentés dans la prise en charge de la mucoviscidose
- les patients traités dans le cadre de ce CPC sont revus en consultation par le médecin prescripteur entre le premier et le deuxième mois après le début du traitement afin d'en vérifier l'efficacité et la sécurité ; le traitement devra être interrompu en l'absence d'amélioration marquant une réponse au traitement
- la dispensation du traitement est réservée aux pharmacies à usage intérieur (PUI) des établissements de santé
- les modalités d'emploi et les autres caractéristiques de Kalydeco et de Kaftrio sont identiques à celles de leurs AMM

Il est recommandé que la prescription du traitement soit soumise à l'avis d'un centre de référence/compétence de la mucoviscidose, selon la pratique clinique actuelle, et que les patients traités dans le cadre de ce CPC soient inscrits dans le registre français de la mucoviscidose. Ce registre collecte les données des patients atteints de mucoviscidose issues des 47 centres de ressources et de compétence de la mucoviscidose (CRCM).

Le protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP) détaillant les modalités d'emploi de Kaftrio 75

+ [Consultez le CPC de Kaftrio associé à Kalydeco](#)

Qu'est-ce que le cadre de prescription compassionnelle (CPC) ?

L'ANSM peut encadrer des prescriptions non couvertes par l'autorisation de mise sur le marché (AMM), sous réserve :

- d'un besoin thérapeutique,
- et d'une présomption de rapport bénéfice/risque favorable, notamment issue de données scientifiques publiées d'efficacité et de tolérance.

Nous élaborons à cette fin des cadres de prescription compassionnelle (CPC) pour une durée de 3 ans, renouvelables.

Les signalements de situations pouvant donner lieu à l'instruction d'un CPC peuvent provenir, dans leurs champs d'intervention respectifs :

- de l'Institut national du cancer ;
- des centres de référence et des centres de compétence au sein de chacune des filières de santé définies au niveau national pour la prise en charge des maladies rares, selon des modalités fixées par un arrêté du ministre chargé de la santé ;
- des conseils nationaux professionnels compétents mentionnés à l'article L. 4021-3 ;
- de toute association de patients agréée au titre de l'article L. 1114-1.

● En lien avec cette information

PUBLIÉ LE 01/06/2023

Décision du 01/06/2023 - Extension de l'indication du cadre de prescription compassionnelle de Kaftrio (ivacaftor, tezacaftor, élexacaftor) et Kalydeco (ivacaftor)

DÉCISIONS (MÉDICAMENTS)
ACCÈS DÉROGATOIRE

PUBLIÉ LE 19/05/2022 - MIS À JOUR LE 21/10/2022

Décision du 19/05/2022 - Cadre de prescription compassionnelle de Kaftrio (ivacaftor, tezacaftor, élexacaftor) et Kalydeco (ivacaftor)

DÉCISIONS (MÉDICAMENTS)
ACCÈS DÉROGATOIRE

PUBLIÉ LE 19/05/2022 - MIS À JOUR LE 21/10/2022

Décision du 19/05/2022 - Modification de la liste mentionnée au 1° de l'article L. 5126-6 du code de la santé publique

DÉCISIONS (MÉDICAMENTS)
MÉDICAMENTS EN RÉTROCESSION

Pour en savoir plus

