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

La directrice générale de l'agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé,

Vu le code de la santé publique, notamment les articles L. 5121-12-1 III, L. 5121-14-3, R. 5121-76-1 et suivants ;

Vu la lettre de l'ANSM en date du 25 février 2022 informant Vertex Pharmaceuticals (France) de son intention d'envisager un cadre de prescription compassionnelle (CPC) pour les spécialités Kaftrio 75 mg/50 mg/100 mg, comprimé pelliculé et Kalydeco 150 mg, comprimé pelliculé, dans l'indication « Traitement de la mucoviscidose, chez les patients âgés de 12 ans et plus, non porteurs de la mutation F508del et ayant une atteinte respiratoire sévère » ;

Vu les réponses par courriel de Vertex Pharmaceuticals (France) en date du 11 mars 2022 et du 1er avril 2022 ;

Vu la lettre de l'ANSM en date du 20 avril 2022 confirmant à Vertex Pharmaceuticals (France) son intention d'établir le CPC précité et lui adressant pour observations, les projets de décision et de protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients (PUT-SP) ;

Vu la réponse par courriel de Vertex Pharmaceuticals (France) en date du 26 avril 2022 ;

Vu la réunion en visioconférence en date du 5 mai 2022 en présence de l'ANSM, de Vertex Pharmaceuticals (France) et de l'association de patients Vaincre la mucoviscidose ;

Vu le courriel de Vertex Pharmaceuticals (France) en date du 9 mai 2022 ;

Vu la lettre de l'ANSM en date du 17 mai 2022 confirmant à Vertex Pharmaceuticals (France) l'établissement du CPC précité et lui adressant le PUT-SP modifié notamment en ce qui concerne l'indication et les conditions de prescription et de délivrance ;

Décide :

Article 1er :
Un CPC est établi pour les médicaments :

- Kaftrio 75 mg/50 mg/100 mg, comprimé pelliculé,
- Kalydeco 150 mg, comprimé pelliculé,

Exploités par Vertex Pharmaceuticals (France),
dans l'indication suivante :

« Traitement de la mucoviscidose chez les patients âgés de 12 ans et plus, non porteurs de la mutation F508del, ayant une atteinte respiratoire sévère (VEMS ≤ 40% de la valeur prédite) ou un risque d'évolution vers la transplantation pulmonaire ou un pronostic vital engagé à plus ou moins court terme».

Article 2 :
Le laboratoire exploitant les spécialités mentionnées à l'article 1er, est responsable de la mise en place et du suivi du CPC, conformément au protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients figurant en annexe de la présente décision.

Le suivi national de pharmacovigilance dans le cadre du CPC est assuré par le Centre Régional de Pharmacovigilance (CRPV) de Poitiers.

Article 3 :
Un rapport de synthèse portant sur les informations relatives à l'efficacité, à la sécurité et aux conditions réelles d'utilisation des spécialités mentionnées à l'article 1er est transmis tous les ans par le laboratoire exploitant à l'ANSM par tout moyen de nature à donner date certaine de réception. La période de suivi couvre la période comprise entre la date de début du CPC et la date d'anniversaire correspondante. Le délai de transmission du rapport par le laboratoire exploitant ne doit pas excéder un mois.

Une analyse finale est transmise par le laboratoire dans un délai de 6 mois suivant la fin du CPC.

Chaque rapport de synthèse est accompagné d'un résumé établi par le laboratoire concerné, destiné à être publié, après validation de l'ANSM, sur le site internet de cette dernière.

Article 4 :
Le présent CPC, accompagné de son annexe, est publié sur le site internet de l'ANSM.

Article 5 :
Le présent CPC est valable pour une durée de trois ans, à compter de sa date d'entrée en vigueur, à savoir le lendemain de sa publication sur le site internet de l'ANSM.

Fait, le 19/05/2022

Christelle RATIGNIER-CARBONNEIL
Directrice générale de l'ANSM

En lien avec cette information



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

INNOVATION
ACCÈS COMPASSIONNEL

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