

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

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 et R. 5121-76-1 à R. 5121-76-11 ;

**Vu** le cadre de prescription compassionnelle (CPC) établi le 19 mai 2022 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 ( $VEMS \leq 40\%$  de la valeur prédite) ou un risque d'évolution vers la transplantation pulmonaire ou un pronostic vital engagé à plus ou moins court terme » ;

**Vu** les échanges intervenus entre l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) et l'exploitant des autorisations de mise sur le marché (AMM) des spécialités concernées ;

**Considérant** que l'évaluation menée par l'ANSM fait apparaître que les données disponibles à ce jour permettent de présumer que les bénéfices attendus des médicaments concernés sont supérieurs aux risques encourus dans l'indication étendue au « traitement de la mucoviscidose chez les patients âgés de 6 ans et plus non porteurs de la mutation F508del, hormis ceux présentant 2 gènes mutés prédictifs de l'absence de synthèse de protéine CFTR. » (rapport bénéfice/risque présumé favorable) ;

**Considérant** que l'extension d'indication thérapeutique du CPC n'emporte pas de conséquence sur la durée de validité de celui-ci ;

**Décide :**

**Article 1<sup>er</sup> :**

Le cadre de prescription compassionnelle précité est modifié en ce qui concerne l'extension de l'indication au **« traitement de la mucoviscidose chez les patients âgés de 6 ans et plus non porteurs de la mutation F508del, hormis ceux présentant 2 gènes mutés prédictifs de l'absence de synthèse de protéine CFTR. »** et l'ajout des dosages **Kaftrio 37,5 mg/25 mg/50 mg comprimé pelliculé et Kalydeco 75 mg comprimé pelliculé** en conséquence.

**Article 2 :**

Le protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients joint à la présente décision remplace le protocole en vigueur.

**Article 3 :**

La présente décision et le protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients qui lui est annexé sont publiés sur le site internet de l'ANSM.

Fait, le 01/06/2023

Dr Christelle RATIGNIER-CARBONNEIL  
Directrice Générale de l'ANSM

- En lien avec cette information

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