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

**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 ≤ 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 1er :**
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