

PUBLIÉ LE 09/11/2023

# Avis de l'ANSM du 19/08/2023 sur le médicament Kaftrio granulés en sachet en association avec Kalydeco granulés en sachet dans le cadre d'une demande d'AAP

## DÉCISIONS (MÉDICAMENTS) - AVIS

Date du dépôt de la demande : 16 mai 2023 complétée le 30 mai 2023, le 07 juin 2023 et le 25 juillet 2023 ;

Nom du demandeur : Vertex Pharmaceuticals

Dénomination des médicaments :

- Kaftrio 75 mg/50 mg/100 mg, granulés en sachet  
Kaftrio 60 mg/40 mg/80 mg granulés en sachet  
DCI/nom de code : ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor
- Kalydeco 75 mg, granulés en sachet  
Kalydeco 59,5 mg, granulés en sachet  
DCI/nom de code : ivacaftor

Indications thérapeutiques revendiquées par le laboratoire :

- Kaftrio (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor), granulés en sachet  
« *Kaftrio granulés est indiqué en association avec l'ivacaftor dans le traitement des enfants atteints de mucoviscidose âgés de 2 ans à moins de 6 ans et porteurs d'au moins une mutation F508del du gène CFTR (cystic fibrosis transmembrane conductance regulator).* »
- Kalydeco (ivacaftor), granulés en sachet  
« *Kalydeco granulés est indiqué en association avec ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor dans le traitement des enfants atteints de mucoviscidose âgés de 2 ans à moins de 6 ans et porteurs d'au moins une mutation F508del du gène CFTR (cystic fibrosis transmembrane conductance regulator).* »

### Avis de l'ANSM :

- **L'ANSM atteste de la forte présomption d'efficacité et de sécurité des médicaments :**
  - **Kaftrio 75 mg/50 mg/100 mg, granulés en sachet**  
**Kaftrio 60 mg/40 mg/80 mg granulés en sachet**  
**dans l'indication thérapeutique:**  
« ***Kaftrio granulés est indiqué en association avec l'ivacaftor dans le traitement des enfants atteints de mucoviscidose âgés de 2 ans à moins de 6 ans et porteurs d'au moins une mutation F508del du gène CFTR (cystic fibrosis transmembrane conductance regulator).*** »
- **Kalydeco 75 mg, granulés en sachet**  
**Kalydeco 59,5 mg, granulés en sachet**  
**dans l'indication thérapeutique :**  
« ***Kalydeco granulés est indiqué en association avec ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor dans le traitement des enfants atteints de mucoviscidose âgés de 2 ans à moins de 6 ans et porteurs d'au moins une mutation F508del du gène CFTR (cystic fibrosis transmembrane conductance regulator).*** »

La motivation scientifique du présent avis figure en annexe, de même que les résumés des caractéristiques du produit, les étiquetages et les notices validés par l'ANSM dans ces indications thérapeutiques.

Fait à Saint-Denis le 19/08/2023

Christelle RATIGNIER-CARBONNEIL  
Directrice générale de l'ANSM

