PUBLIÉ LE 05/02/2024

Décision du 02/02/2024 - Modification du CPC Kaftrio (ivacaftor, tezacaftor, élexacaftor) et Kalydeco (ivacaftor)

DÉCISIONS (MÉDICAMENTS) - ACCÈS DÉROGATOIRE

La directrice générale de l'ANSM,

Vu le code de la santé publique, notamment les articles L. 5121-12-1 III, L. 5121-14-3 et R. 5121-76-9 ;

Vu le cadre de prescription compassionnelle (CPC) établi le 19/05/2022 et modifié le 01/06/2023 ;

Vu l'autorisation d'accès précoce (AAP) octroyée par la Haute autorité de santé le 07/09/2023 dans l'indication « en association dans le traitement des patients atteints de mucoviscidose âgés de 6 ans et plus, non porteurs d'une mutation F508del du gène CFTR (cystic fibrosis trans-membrane conductance regulator) et porteurs d'une mutation répondeuse à ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor sur base de la données in vitro disponibles (voir rubrique 5.1 du RCP) ;

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 suite à l'octroi de l'AAP précitée, l'indication thérapeutique mentionnée dans le CPC doit être modifiée ;

Considérant que, dans l'intérêt des patients, il est nécessaire de maintenir un encadrement sécurisé de l'utilisation de Kaftrio et Kalydeco dans les autres indications couvertes par le CPC ;

Considérant que la modification apportée au CPC n'emporte pas de conséquence sur la durée de validité de celui-ci ;

Décide :

Article 1er :
Le CPC précité est modifié comme suit en ce qui concerne le libellé de l'indication thérapeutique :
« 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 ceux porteurs d'une mutation répondeuse à ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor sur la base de données in vitro disponibles telles que définies dans le cadre de l'autorisation d'accès précoce ».

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. Ils entrent en vigueur le lendemain de cette publication.

Fait, le 02/02/2024

Christelle RATIGNIER-CARBONNEIL
Directrice générale de l'ANSM