

PUBLIÉ LE 13/02/2024 - MIS À JOUR LE 21/02/2024

# Avis de l'ANSM du 19/12/2023 sur le médicament Casgevy dans le cadre d'une demande d'AAP

## DÉCISIONS (MÉDICAMENTS) - AVIS

Date du dépôt de la demande : 19/07/2023 complétée le 1er décembre 2023

Nom du demandeur : Vertex Pharmaceuticals (France)

Dénomination du médicament : **Casgevy, 4 à 13 x 10<sup>6</sup> cellules/mL, dispersion pour perfusion**

DCI/nom de code : exagamglogene autotemcel

Indication thérapeutique revendiquée : Casgevy est indiqué dans le traitement de la  $\beta$ -thalassémie dépendante des transfusions (TDT) chez les patients âgés de 12 ans et plus, pour lesquels un donneur apparenté HLA (Antigène leucocytaire humain)-compatible n'est pas disponible

### Avis de l'ANSM :

- **L'ANSM atteste de la forte présomption d'efficacité et de sécurité du médicament « Casgevy, 4 à 13 x 10<sup>6</sup> cellules/mL, dispersion pour perfusion » dans l'indication thérapeutique :**

**« Traitement de la  $\beta$ -thalassémie dépendante des transfusions (TDT) chez les patients âgés de 12 ans et plus éligibles à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (CSH) et pour lesquels un donneur apparenté HLA (Antigène leucocytaire humain)-compatible n'est pas disponible »**

**La motivation scientifique du présent avis figure en annexe, de même que le résumé des caractéristiques**

Fait le 19/12/2023

Valérie DENUX  
Directrice Europe et Innovation