

PUBLIÉ LE 07/11/2024

# Avis de l'ANSM du 18/09/2024 sur le médicament Kaftrio comprimé pelliculé en association avec Kalydeco comprimé pelliculé dans le cadre d'une demande de renouvellement d'AAP

## DÉCISIONS (MÉDICAMENTS) - AVIS

Date du dépôt de la demande de renouvellement : le 7 juin 2024 complétée le 24 juin 2024 et le 5 juillet 2024

Nom du demandeur : Vertex Pharmaceuticals

Dénomination des médicaments (nom, dosage et forme pharmaceutique) :

- Kaftrio 37,5 mg/25 mg/50 mg comprimé pelliculé
- Kaftrio 75 mg/50 mg/100 mg comprimé pelliculé

DCI/nom de code : Ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor

- Kalydeco 150 mg, comprimé pelliculé
- Kalydeco 75 mg, comprimé pelliculé

DCI/nom de code : ivacaftor

Indication thérapeutique revendiquée :

Traitement des patients atteints de mucoviscidose, âgés de 6 ans et plus, non porteurs d'une mutation F508del du gène CFTR (cystic fibrosis transmembrane conductance regulator) et porteurs d'une mutation répondeuse à ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor sur la base de données *in vitro* disponibles.

**Avis de l'ANSM rendu conformément à l'article R. 5121-69-4 III :**

**L'ANSM atteste du maintien de la forte présomption d'efficacité et de sécurité des médicaments :**

- **Kaftrio 75 mg/50 mg/100 mg comprimé pelliculé**
- **Kaftrio 37,5 mg/25 mg/50 mg comprimé pelliculé**
  - **dans l'indication thérapeutique:**  
« Kaftrio comprimé pelliculé, est indiqué en association avec l'ivacaftor, comprimé 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 transmembrane conductance regulator) et porteurs d'une mutation répondeuse à ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor sur la base de données *in vitro* disponibles. (voir rubrique 5.1). »
- **Kalydeco 150 mg, comprimé pelliculé**
- **Kalydeco 75 mg, comprimé pelliculé**
  - **dans l'indication thérapeutique :**  
« Kalydeco, comprimé pelliculé, est indiqué en association avec ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor comprimé 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 transmembrane conductance regulator) et porteurs d'une mutation répondeuse à ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor sur la base de données *in vitro* disponibles. (voir rubrique 5.1). »

**A l'appui de cette demande de renouvellement, le demandeur a déposé un rapport de synthèse portant sur la période du 7 septembre 2023 au 7 avril 2024. L'analyse des données collectées dans le cadre de**

**l'accès précoce ainsi que les données de pharmacovigilance disponibles n'ont pas mis en évidence d'éléments remettant en cause le rapport bénéfice/risque de Kaftrio comprimé associé à Kalydeco comprimé dans cette indication.**

**Compte tenu de ce qui précède, le rapport bénéfice/risque de Kaftrio comprimé en association avec Kalydeco comprimé dans l'indication de l'accès précoce ci-dessus demeure fortement présumé favorable pour les mêmes motifs que ceux contenus dans l'avis initial en date du 7 septembre 2023.**

**Le résumés des caractéristiques du produit et les notices de Kaftrio, comprimé pelliculé et Kalydeco, comprimé pelliculé ont respectivement été mis à jour selon les dernières données issues de leur Autorisation de mise sur le marché actuellement en vigueur.**

**Conformément aux dispositions prévues à l'article R.5121-144 du code de la santé publique, une dérogation est accordée en vue de la mise à disposition des conditionnements commerciaux auxquels seront attachées, à l'aide d'élastiques, les notices de l'accès précoce comme lors de l'initiation de ce programme.**

Fait le 18/09/2024

Valérie DENUX, Directrice  
Europe et Innovation