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 àivacaftor/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