PUBLIÉ LE 19/05/2025

Décision du 16/05/2025 - Renouvellement du cadre de prescription compassionnelle des médicaments Kaftrio et Kalydeco*

INNOVATION - ACCÈS COMPASSIONNEL

*Décision de renouvellement du cadre de prescription compassionnelle des médicaments

- Kaftrio (ivacaftor, tezacaftor, élexacaftor) 75 mg/50 mg/100 mg, comprimé pelliculé,
- Katrio (ivacaftor, tezacaftor, élexacaftor) 37,5 mg/25 mg/50 mg comprimé pelliculé
- Kalydeco (ivacaftor) 150 mg, comprimé pelliculé,
- Kalydeco (ivacaftor) 75 mg comprimé pelliculé

Dans l'indication
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 tel que défini dans le cadre de l'autorisation d'accès précoce : Voir décision AP 227

La directrice générale de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé

Vu le code de la santé publique, notamment les articles L. 5121-12-1 III, L. 5121-14-3, et R. 5121-76-1 à R. 5121-76-11 ;

Vu le cadre de prescription compassionnelle (CPC) établi le 19/05/2022 ;

Considérant que, dans l'intérêt des patients et dans la mesure où les conditions au vu desquelles l'encadrement sécurisé dans l'indication précitée avait été édicté demeurent vérifiées, il est nécessaire de maintenir un encadrement ;

Décide :

Article 1er
Le CPC précité est renouvelé pour une durée de trois ans à compter du 19/05/2025.

Article 2
Le protocole d'utilisation thérapeutique et de suivi des patients annexé à la présente décision remplace le protocole précédemment en vigueur.

Article 3 : La présente décision entre en vigueur le lendemain de sa publication sur le site Internet de l'ANSM.

PAUGAM-BURTZ Catherine
Directrice générale