

PUBLIÉ LE 10/11/2025

# Décision du 06/11/2025 - Abrogation du cadre de prescription compassionnelle des médicaments Kaftrio et Kalydeco

## DÉCISIONS (MÉDICAMENTS) - ACCÈS DÉROGATOIRE

*Décision portant abrogation du cadre de prescription compassionnelle des médicaments*

- Kaftrio (ivacaftor, tezacaftor, élexacaftor) 75 mg/50 mg/100 mg, comprimé pelliculé,
- Kaftrio (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 et R. 5121-76-9 ;

**Vu** le cadre de prescription compassionnelle (CPC) établi par l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé, pour les spécialités pharmaceutiques :

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

**Considérant** la mise à disposition à compter du 20/10/2025 de ces spécialités pharmaceutiques dans le cadre de l'autorisation d'accès précoce dans une indication thérapeutique correspondant à celle mentionnée dans le CPC précité ;

**Décide :**

**Article 1<sup>er</sup> :**

Le cadre de prescription compassionnelle (CPC) établi pour le(s) médicament(s) :

- Kaftrio (ivacaftor, tezacaftor, élexacaftor) 75 mg/50 mg/100 mg, comprimé pelliculé,
- Kaftrio (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 suivante :

- 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,

est abrogé.

**Article 2 :**

L'analyse finale de l'ensemble des données recueillies au cours du CPC sera transmise à l'ANSM dans les six mois suivant la fin du CPC.

**Article 3 :**

La présente décision est publiée sur le site internet de l'ANSM.

Fait le 06/11/2025

Catherine Paugam-Burtz  
Directrice générale de l'ANSM