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 medicaments

- *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 1er :
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