

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^{er} :

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