PUBLIÉ LE 19/05/2022 - MISE À JOUR LE 30/09/2026

Kaftrio - Kalydeco - Elexacaftor

Actualisation du 30/09/2026

- Arrêt de l'AAP

Spécialité(s) pharmaceutique(s)

Kaftrio 37,5 mg/25 mg/50 mg comprimé pelliculé
Kaftrio 75 mg/50 mg/100 mg, comprimé pelliculé
Kalydeco 25 mg granulés en sachet
Kalydeco 50 mg granulés en sachet
Kalydeco 75 mg granulés en sachet
Kalydeco 75 mg, comprimé pelliculé
Kalydeco 150 mg, comprimé pelliculé
Elexacaftor 80mg/ tezacafor 40mg/ Ivacaftor 60mg FDC, granulés en sachet
Elexacaftor 100mg/ tezacafor 50mg/ Ivacaftor 75 mg FDC, granulés en sachet
Ivacaftor 59,5 mg granulés en sachet

Substance active

Ivacaftor, tezacaftor, élexacaftor

Laboratoire

Vertex Pharmaceuticals

AMM

Documents de référence dans le cadre de l’AMM

Indication(s) dans ce cadre

Documents de référence dans ce cadre

Suivi des patients

Base publique du médicament

Titulaire (s)

Critères d'octroi

Indications

Code(s) CIP

Documents de référence

Lire aussi

Autres informations

Points de vigilance pour les professionnels de santé : certains patients initialement traités dans le cadre du CPC devront désormais être traités dans le cadre de l'autorisation d'accès précoce (voir PUT).

Données d'inclusion

Résumé de rapport de synthèse périodique

Autorisation d'accès compassionnel (AAC)

Elexacaftor 100mg/ tezacafor 50mg/ Ivacaftor 75 mg FDC, granulés en sachet
Elexacaftor 80mg/ tezacafor 40mg/ Ivacaftor 60mg FDC, granulés en sachet
Ivacaftor 59,5 mg granulés en sachet

Fin d'AAC le 30/05/2024

Autorisation d'accès précoce (AAP)

Kaftrio 37,5 mg/25 mg/50 mg comprimés pelliculés
Kaftrio 75 mg/50 mg/100 mg comprimés pelliculés
Kalydeco 75 mg comprimés pelliculés
Kalydeco 150 mg comprimés pelliculés
Kaftrio 75 mg/50 mg/100 mg, granulés en sachet
Kaftrio 60 mg/40 mg/80 mg granulés en sachet
Kalydeco 75 mg, granulés en sachet
Kalydeco 59,5 mg, granulés en sachet

Indication de l'AAP octroyée le 04/09/2025, mise en œuvre le 20/10/2025, arrêtée le 31/08/2026

En association avec Kalydeco (ivacaftor) est indiqué en association dans le traitement des patients atteints de mucoviscidose âgés de 2 ans et plus porteurs d'au moins une mutation autre que de classe I du gène CFTR (cystic fibrosis transmembrane conductance regulator) et non porteurs d'une mutation F508del du gène CFTR.

Kaftrio 37,5 mg/25 mg/50 mg comprimés pelliculés
Kaftrio 75 mg/50 mg/100 mg comprimés pelliculés
Kalydeco 75 mg comprimés pelliculés
Kalydeco 150 mg comprimés pelliculés

Indication de l'AAP octroyée le 07/09/2023, renouvelée le 17/10/2024 et arrêtée le 20/10/2025

En association 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 trans-membrane conductance regulator) et porteurs d'une mutation répondeuse à ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor sur la base de données in vitro disponibles (voir rubrique 5.1 du RCP)

Résumé de rapport de synthèse

AAP Kaftrio / Kalydeco – Rapport n° 1 Période du 07/09/2023 au 07/04/2024 (25/09/2024)

Kaftrio 75 mg/50 mg/100 mg, granulés en sachet

Kaftrio 60 mg/40 mg/80 mg granulés en sachet
Kalydeco 75 mg, granulés en sachet
Kalydeco 59,5 mg, granulés en sachet

Indication de l'AAP octroyée le 07/09/2023 et renouvelée le 21/10/2024 et arrêtée le 12/07/2025

- Kaftrio granulés est indiqué en association avec l'ivacaftor dans le traitement des enfants atteints de mucoviscidose âgés de 2 ans à moins de 6 ans et porteurs d'au moins une mutation F508del du gène CFTR (cystic fibrosis transmembrane conductance regulator).
- Kalydeco granulés est indiqué en association avec ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor dans le traitement des enfants atteints de mucoviscidose âgés de 2 ans à moins de 6 ans et porteurs d'au moins une mutation F508del du gène CFTR (cystic fibrosis transmembrane conductance regulator).

Avis de l'ANSM du 19/08/2023 sur le médicament Kaftrio granulés en sachet en association avec Kalydeco granulés en sachet dans le cadre d'une demande d'AAP (24/02/2026)

Résumés des rapports de synthèse

Accès précoce Kaftrio granulés - Rapport n° 1 - Période du 07/09/2023 au 07/04/2024

Cadre de prescription compassionnelle (CPC)

Kaftrio 37,5 mg/25 mg/50 mg comprimé pelliculé
Kaftrio 75 mg/50 mg/100 mg, comprimé pelliculé
Kalydeco 75 mg, comprimé pelliculé
Kalydeco 150 mg, comprimé pelliculé

Indication du CPC octroyé le 19/05/2022, extension du CPC le 01/06/2023, modifié le 05/02/2024, renouvelé le 16/05/2025, terminé le 06/11/2025

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 telles que définies dans le cadre de l'autorisation d'accès précoce

Documents de référence dans ce cadre

- Décision du 19/05/2022 - Cadre de prescription compassionnelle de Kaftrio (ivacaftor, tezacaftor, élexacaftor) et Kalydeco (ivacaftor)
- Décision d'extension du 01/06/2023 - Cadre de prescription compassionnelle de Kaftrio (ivacaftor, tezacaftor, élexacaftor) et Kalydeco (ivacaftor)
- Décision du 02/02/2024 - Modification du CPC Kaftrio (ivacaftor, tezacaftor, élexacaftor) et Kalydeco (ivacaftor)
- Décision du 16/05/2025 - 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
- Décision du 06/11/2025 - Abrogation du cadre de prescription compassionnelle des médicaments Kaftrio et Kalydeco

Autorisation de mise sur le marché (AMM) – Oui