

Kaftrio - Kalydeco - Elexacaftor

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/ tezacaftor 40mg/ Ivacaftor 60mg FDC, granulés en sachet

Elexacaftor 100mg/ tezacaftor 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/ tezacaftor 50mg/ Ivacaftor 75 mg FDC, granulés en sachet
Elexacaftor 80mg/ tezacaftor 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

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

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)

Documents de référence

- [↓](#) AAP Kaftrio - Notice (07/11/2024) [↓](#) AAP Kaftrio - RCP (07/11/2024) [↓](#) AAP Kalydeco - Notice (07/11/2024)
- [↓](#) AAP Kalydeco - RCP (07/11/2024) [↓](#) AAP Kaftrio - Kalydeco - PUT (05/02/2024)

Lire aussi

- [Décision de la HAS du 17/10/2024 portant renouvellement de l'autorisation d'accès précoce de l'association des spécialités Kaftrio et Kalydeco](#)
- [Décision de la HAS du 7 septembre 2023 du collège de la HAS portant autorisation d'accès précoce de l'association des spécialités Kaftrio et Kalydeco](#)

[↓](#) Avis de l'ANSM du 19/08/2023 sur le médicament Kaftrio comprimé pelliculé en association avec Kalydeco comprimé pelliculé dans le cadre d'une demande d'AAP (05/02/2024) [↓](#) Avis de l'ANSM du 18/09/2024 sur le médicament Kaftrio comprimé pelliculé en association avec Kalydeco comprimé pelliculé dans le cadre d'une demande de renouvellement d'AAP (07/11/2024)

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

- 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).
- [Disponible dans le cadre d'un AAP post-AMM](#)



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 (09/11/2023)

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

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/élexacaftor 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 \(ivacaftor\)](#)



PUT-SP CPC Kaftrio/Kalydeco (05/02/2024)

Autorisation de mise sur le marché (AMM) - Oui



PUBLIÉ LE 19/05/2022 - MIS À JOUR LE 09/02/2024

Mucoviscidose : le point sur l'accès des patients non porteurs de la mutation F508del à l'association des comprimés pelliculés Kaftrio et Kalydeco

INNOVATION - ACCÈS COMPASSIONNEL