

# Casgevy

## Spécialité(s) pharmaceutique(s)

**Casgevy 4 à 13 × 10<sup>6</sup> cellules/mL dispersion pour perfusion**

## Substance active

Exagamglogene autotemcel

## Laboratoire

Vertex Pharmaceuticals (France)

## AMM

## Lire aussi

## Autres informations

## Résumé de rapport de synthèse périodique

### Autorisation d'accès précoce (AAP)

**Casgevy 4 à 13 × 10<sup>6</sup> cellules/mL dispersion pour perfusion**

Indication de l'AAP octroyée le 11/07/2024

Traitement de la drépanocytose sévère uniquement chez les patients âgés de 12 à 35 ans présentant des crises vaso-occlusives récurrentes (CVO) malgré un traitement bien conduit par hydroxycarbamide éligibles à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (CSH) et pour lesquels un donneur apparenté HLA (antigène leucocytaire humain) compatible n'est pas disponible et dont la sévérité de la maladie est établie par :

- la mise en place d'un programme transfusionnel depuis au moins 6 mois pour épisodes vaso-occlusifs récurrents (population pédiatrique et adulte),
- ET/OU, pour la population adulte seulement, la persistance d'épisodes vaso-occlusifs récurrents ayant nécessité une hospitalisation conventionnelle dans l'année ( $\geq 2$  épisodes/an ou  $\geq 1$  épisode/an ayant nécessité une transfusion).

**Fin d'AAP le 20/11/2024**

---

**Casgevy 4 à  $13 \times 10^6$  cellules/mL dispersion pour perfusion**

**Indication de l'AAP octroyée le 18/01/2024**

Traitement de la  $\beta$  thalassémie dépendante des transfusions (TDT) chez les patients âgés de 12 ans à 35 ans éligibles à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (CSH) et pour lesquels un donneur apparenté HLA (antigène leucocytaire humain) compatible n'est pas disponible.

**Fin d'AAP le 12/12/2024**

**Autorisation de mise sur le marché (AMM) - Oui**

