



COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

SYNTHÈSE D'AVIS

3 JUIN 2020

ivacaftor
KALYDECO 25 mg, 50 mg, 75 mg, granulés en sachet

Première évaluation (25 mg)
Nouvelle indication (50 et 75 mg)

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement des nourrissons âgés d'au moins 6 mois, des jeunes enfants et des enfants pesant de 5 kg à moins de 25 kg atteints de la mucoviscidose porteurs de l'une des mutations de défaut de régulation (classe III) du gène CFTR mentionnées dans l'AMM.

► Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique dans la prise en charge thérapeutique de la mucoviscidose chez les enfants âgés d'au moins 6 mois à 1 an et pesant de 5 kg à moins de 25 kg, porteurs de l'une des mutations de défaut de régulation (classe III) du gène CFTR mentionnées dans l'AMM.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

La prise en charge des patients atteints de mucoviscidose nécessite l'intervention d'une équipe pluridisciplinaire. La prise en charge symptomatique, nécessaire à vie, repose sur 4 types d'interventions complémentaires à visée symptomatique :

- la prise en charge respiratoire : kinésithérapie, dornase alfa inhalé (qui ne peut pas être administrée chez des patients de moins de 5 ans), antibiothérapie,

- la prise en charge nutritionnelle et digestive,
- la mise en place d'une prévention optimale des infections pulmonaires respectant le calendrier vaccinal,
- l'éducation thérapeutique des patients.

Place du médicament

Comme chez l'enfant âgé de 12 mois et plus, KALYDECO (ivacaftor) est un traitement de fond de la mucoviscidose qui doit être prescrit d'emblée aux patients avec mucoviscidose âgés d'au moins 6 mois à 12 mois et pesant de 5 kg à moins de 25 kg, porteurs de l'une des mutations de défaut de régulation (classe III) du gène CFTR suivantes : *G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R*.

La durée de traitement optimale par KALYDECO (ivacaftor) n'est pas connue.

► Recommandations particulières

Compte tenu des caractéristiques du produit et de la complexité de la prise en charge, la Commission rappelle que la prescription de KALYDECO (ivacaftor) est réservée aux médecins expérimentés dans le traitement de la mucoviscidose et préconise que la prise en charge des patients soit effectuée au sein des centres de référence de la maladie.

Ce document a été élaboré à partir de l'avis de la Commission de la transparence disponible sur www.has-sante.fr