



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE SYNTHÈSE D'AVIS 18 NOVEMBRE 2020

ivacaftor / tezacaftor / elexacaftor
KAFTRIO 75 mg/50 mg/100 mg, comprimé pelliculé

Première évaluation

ivacaftor
KALYDECO 150 mg, comprimé pelliculé

Nouvelle indication

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement des patients atteints de mucoviscidose âgés de 12 ans et plus, homozygotes pour la mutation F508del du gène *CFTR* ou hétérozygotes pour la mutation F508del du gène *CFTR* et porteurs d'une mutation du gène *CFTR* à fonction minimale.

► Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique dans la prise en charge.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

La prise en charge des patients atteints de mucoviscidose nécessite l'intervention d'une équipe pluridisciplinaire (centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose, médecin traitant,

centres spécialisés, équipe paramédicale avec kinésithérapeute et infirmière). Le traitement est symptomatique et nécessaire à vie. Il repose sur des interventions complémentaires en particulier la prise en charge respiratoire, nutritionnelle, et l'éducation thérapeutique.

Chez les patients homozygotes pour la mutation F508del du gène *CFTR*, des modulateurs de la protéine CFTR ont montré leur efficacité : ORKAMBI (lumacaftor/ivacaftor) et SYMKEVI (tezacaftor/ivacaftor) en association avec KALYDECO (ivacaftor).

Chez les patients hétérozygotes pour la mutation F508del et porteurs d'une mutation à fonction minimale, la stratégie thérapeutique n'incluait, avant l'arrivée de KAFTRIO (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor), aucun modulateur du CFTR.

Place de l'association dans la stratégie thérapeutique

KAFTRIO (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) en association avec KALYDECO (ivacaftor) est un traitement de fond qui doit être prescrit d'emblée aux patients atteints de mucoviscidose âgés de 12 ans et plus, homozygotes pour la mutation F508del du gène *CFTR* ou hétérozygotes pour la mutation F508del et porteurs d'une mutation à fonction minimale.

Dans le traitement des patients hétérozygotes pour la mutation F508del du gène *CFTR* et porteurs d'une mutation du gène *CFTR* à fonction minimale, en l'absence d'alternative thérapeutique et considérant la démonstration robuste de son efficacité, KAFTRIO (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) en association avec KALYDECO (ivacaftor) constitue le traitement de référence.

Dans le traitement des patients homozygotes pour la mutation F508del du gène *CFTR*, compte tenu de l'important bénéfice clinique démontré par rapport à SYMKEVI (tezacaftor/ivacaftor), KAFTRIO (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) en association avec KALYDECO (ivacaftor) constitue le traitement de première intention.

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