



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

## COMMISSION DE LA TRANSPARENCE SYNTHÈSE D'AVIS 30 JUIN 2021

*ivacaftor*

**KALYDECO 150 mg, comprimé pelliculé**

*tezacaftor/ivacaftor*

**SYMKEVI 100 mg/150 mg**

Nouvelle indication

*ivacaftor*

**KALYDECO 75 mg, comprimé pelliculé**

*tezacaftor/ivacaftor*

**SYMKEVI 50 mg/75 mg**

Première évaluation

### ► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement des patients atteints de mucoviscidose **âgés de 6 ans et plus**, homozygotes pour la mutation *F508del* ou hétérozygotes pour la mutation *F508del* et porteurs d'une mutation du gène *CFTR* spécifiée dans l'AMM.

### ► Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique dans la prise en charge de la mucoviscidose des patients âgés de 6 ans et plus :  
- homozygotes pour la mutation *F508del*,

- ou hétérozygotes pour la mutation *F508del* et porteurs d'une mutation du gène *CFTR* spécifiée 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 (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.

### **Place du médicament**

Comme chez l'enfant âgé de 12 ans et plus, SYMKEVI (tezacaftor/ivacaftor) en association avec KALYDECO (ivacaftor) est un traitement de fond qui doit être prescrit d'emblée aux patients atteints de mucoviscidose âgés de 6 ans et plus, homozygotes pour la mutation *F508del* du gène *CFTR* ou hétérozygotes pour la mutation *F508del* et porteurs de l'une des mutations suivantes du gène *CFTR* : *P67L*, *R117C*, *L206W*, *R352Q*, *A455E*, *D579G*, *711+3A→G*, *S945L*, *S977F*, *R1070W*, *D1152H*, *2789+5G→A*, *3272 26A→G* et *3849+10kbC→T*.

Chez les patients homozygotes pour la mutation *F508del*, l'association SYMKEVI (tezacaftor/ivacaftor) et KALYDECO (ivacaftor) est un traitement de première intention, au même titre qu'ORKAMBI (lumacaftor/ivacaftor).

Chez les patients hétérozygotes concernés par l'indication de l'AMM, l'association SYMKEVI (tezacaftor/ivacaftor) et KALYDECO (ivacaftor) est le traitement de référence.

*Ce document a été élaboré à partir de l'avis de la Commission de la transparence disponible sur [www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr).*