



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

## COMMISSION DE LA TRANSPARENCE SYNTHÈSE D'AVIS 11 MAI 2022

*ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor*

KAFTRIO 37,5 mg/ 25 mg/ 50 mg, comprimé pelliculé

KAFTRIO 75mg/ 50mg/ 100 mg, comprimé pelliculé

*ivacaftor*

KALYDECO 75 mg, comprimé pelliculé

KALYDECO 150mg, comprimé pelliculé

Première évaluation (KAFTRIO 37,5 mg/ 25 mg/ 50 mg)

Nouvelle indication (KAFTRIO 75mg/ 50mg/ 100 mg et KALYDECO)

### ► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement des patients atteints de mucoviscidose **âgés de 6 ans et plus** porteurs d'au moins une mutation *F508del* du gène *CFTR*.

### ► Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique dans la prise en charge des patients âgés de 6 ans et plus atteints de mucoviscidose et porteurs d'au moins une mutation *F508del* du gène *CFTR*.

## ► 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 symptomatique repose sur des interventions complémentaires avec en particulier la prise en charge respiratoire, nutritionnelle, et l'éducation thérapeutique.

### **Place du médicament :**

Comme chez les patients âgés de 12 ans et plus, KAFTRIO (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) en association avec KALYDECO (ivacaftor) est un traitement de fond qui doit être prescrit d'emblée aux patients âgés de 6 ans et plus, atteints de mucoviscidose et porteurs d'au moins une mutation *F508del* du gène *CFTR*.

Dans le traitement des patients âgés de 6 à 11 ans, 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 âgés de 6 à 11 ans, homozygotes pour la mutation *F508del* du gène *CFTR* ou hétérozygotes pour la mutation *F508del* du gène *CFTR* et porteurs d'une mutation de type « *gating* » ou d'une mutation du gène *CFTR* à fonction résiduelle, on ne dispose pas d'étude comparative versus un comparateur cliniquement pertinent dans la tranche d'âge 6 à 11 ans permettant de hiérarchiser les traitements. Il est à noter qu'un bénéfice clinique et biologique a été démontré chez les patients âgés de plus de 12 ans par rapport à SYMKEVI (tezacaftor/ivacaftor) en association avec KALYDECO (ivacaftor) pour les patients porteurs d'une mutation à fonction résiduelle ou à KALYDECO (ivacaftor) pour les patients porteurs d'une mutation dite « *gating* ». Au total, KAFTRIO (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) en association avec KALYDECO (ivacaftor) constitue le traitement de première intention.

La durée optimale de ce traitement n'est pas connue, mais il s'agit probablement d'un traitement à vie.

*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)*