

## Décision n°2023.0384/DC/SEM du 19 octobre 2023 du collège de la Haute Autorité de santé portant autorisation d'accès précoce de la spécialité ORKAMBI

Le collège de la Haute Autorité de santé ayant valablement délibéré en sa séance du 19 octobre 2023.

Vu le code de la sécurité sociale, notamment ses articles L. 161-37 et R. 161-78-1 et suivants ;  
Vu le code de la santé publique, notamment ses articles L. 5121-12 et R. 5121-68 et suivants ;  
Vu le règlement intérieur du collège ;  
Vu le règlement intérieur de la commission de la transparence ;  
Vu l'autorisation de mise sur le marché délivrée à la spécialité ORKAMBI ;  
Vu la demande d'autorisation d'accès précoce présentée par le laboratoire VERTEX PHARMACEUTICALS France pour la spécialité ORKAMBI, reçue le 21 juillet 2023 ;  
Vu la demande d'inscription sur l'une des listes des spécialités remboursables déposée par le demandeur ;  
Vu l'accusé d'enregistrement de demande complète notifié le 31 juillet 2023 au demandeur ;  
Vu l'avis de la commission de la transparence du 18 octobre 2023 ;

DÉCIDE :

### Article 1<sup>er</sup>

La demande d'autorisation d'accès précoce susvisée concerne le médicament ORKAMBI, dans l'indication « Traitement de la mucoviscidose chez les patients âgés d'un an à moins de 2 ans, homozygotes pour la mutation *F508del* du gène *CFTR* », ayant obtenu une autorisation de mise sur le marché attestant de son efficacité et de sa sécurité.

Le laboratoire VERTEX PHARMACEUTICALS France a déposé une demande d'inscription de cette indication sur la liste visée à l'article L. 5123-2 du code de la santé publique et sur la liste visée à l'article L. 162-17 du code de la sécurité sociale.

Par ailleurs, la commission de la transparence (CT) a considéré que :

- L'indication visée dans la demande constitue une maladie grave, rare et invalidante, dès lors que la mucoviscidose est une maladie héréditaire rare à transmission autosomique récessive liée à une mutation du gène de la protéine *CFTR* (*Cystic Fibrosis Transmembrane Regulator*). En 2021, le registre français de la mucoviscidose comptabilisait 3 025 patients homozygotes pour la mutation *F508del*, dont 58 patients âgés de 1 an à moins de 2 ans. Bien que la maladie entraîne une atteinte multi-organes, l'atteinte broncho-pulmonaire est responsable de l'essentiel de la mortalité et de la morbidité. L'âge médian au décès est de 37,8 ans selon les données du registre français de la mucoviscidose pour l'année 2021. Cette maladie multi systémique impacte la qualité de vie des patients.
- Il n'existe pas de traitement approprié dans l'indication considérée dans la mesure où il n'existe pas de comparateur cliniquement pertinent.
- La mise en œuvre du traitement ne peut pas être différée puisqu'il s'agit d'une maladie rare, grave et invalidante et qu'il n'existe pas de traitement approprié.

- Ce médicament est présumé innovant dans l'indication considérée. Il s'agit d'une nouvelle modalité de prise en charge susceptible d'apporter un changement substantiel aux patients en matière d'efficacité. Sur la base de l'ensemble des données cliniques disponibles chez les patients plus âgés et dans la population pédiatrique concernée par la demande d'accès précoce, à savoir l'enfant âgé de 1 an à moins de 2 ans, le médicament dispose d'un plan de développement adapté et présente des résultats cliniques étayant la présomption d'un bénéfice pour le patient dans le contexte de la stratégie thérapeutique existante. Il comble un besoin médical non couvert.

S'appropriant les motifs de l'avis de la CT, le collège considère que les critères énoncés à l'article L. 5121-12 du code de la santé publique sont donc remplis en l'espèce.

Par conséquent, l'autorisation d'accès précoce prévue au III de l'article L. 5121-12 du code de la santé publique est octroyée à la spécialité :

**ORKAMBI 75 mg/94 mg**  
**ORKAMBI 100 mg/125 mg**  
**ORKAMBI 150 mg/188 mg**  
**granulés en sachet – boîte de 56**

du laboratoire VERTEX PHARMACEUTICALS France

dans l'indication « traitement de la mucoviscidose chez les patients âgés d'un an à moins de 2 ans, homozygotes pour la mutation *F508del* du gène *CFTR* (*cystic fibrosis transmembrane conductance regulator*) »

Cette spécialité relève de la catégorie des médicaments soumis à prescription restreinte, dans les conditions prévues par son autorisation de mise sur le marché.

#### Article 2

La présente autorisation est subordonnée au respect du protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil des données, mentionné au IV de l'article L. 5121-12 du code de la santé publique.

#### Article 3

La présente autorisation est valable pour une durée de 12 mois à compter de sa date de notification. Elle peut être renouvelée dans les conditions prévues à l'article R. 5121-69-4 du code de la santé publique.

#### Article 4

La directrice générale de la Haute Autorité de santé est chargée de l'exécution de la présente décision qui sera publiée au Bulletin officiel de la Haute Autorité de santé.

Fait le 19 octobre 2023.

Pour le collège :  
*Le président de la Haute Autorité de santé,*  
Pr Lionel COLLET  
*Signé*