

COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

Avis

5 novembre 2014

KALYDECO 150 mg, comprimé pelliculé, plaquette thermoformée

Boîte de 56, (CIP : 34009 266 061 1 4)

Laboratoire VERTEX

DCI	ivacaftor
Code ATC (2014)	R07AX02 (autres médicaments de l'appareil respiratoire)
Motif de l'examen	Inscription d'un nouveau conditionnement sous forme de plaquette thermoformée (Aclar/Alu)
Liste(s) concernée(s)	☒ Sécurité Sociale (CSS L.162-17) ☒ Collectivités (CSP L.5123-2)
Indication(s) concernée(s)	« KALYDECO est indiqué dans le traitement de la mucoviscidose chez les patients âgés de 6 ans et plus, 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»

01 INFORMATIONS ADMINISTRATIVES ET REGLEMENTAIRES

AMM (procédure)	<u>Date de l'AMM</u> : 23 juillet 2012 Etudes complémentaires demandées par le CHMP et Plan de Gestion des risques (PGR) incluant notamment un suivi des risques suivants : se reporter à la présentation déjà inscrite (avis du 7 novembre 2012)
Conditions de prescription et de délivrance / statut particulier	Liste I Médicament orphelin (juillet 2008) Médicament soumis à prescription initiale hospitalière semestrielle et réservé aux médecins expérimentés dans le traitement de la mucoviscidose. Renouvellement non restreint.

02 CONTEXTE

Examen de la demande d'inscription sur les listes sécurité sociale et médicaments agréés aux collectivités d'un nouveau conditionnement de la spécialité KALYDECO 150 mg, comprimé pelliculé (boîte de 56), en complément de la présentation déjà inscrite (flacon de 56) (avis du 7 novembre 2012).

Concernant l'extension d'indication aux autres mutations de la classe III, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R, se reporter à l'avis du 22 octobre 2014 relatif à cette extension.

Ce nouveau conditionnement est sous forme de plaquette thermoformée pré-découpée et illustrée de pictogramme précisant la prise du matin et du soir.

03 CONCLUSIONS DE LA COMMISSION

Considérant l'ensemble de ces données et informations et après débat et vote, la Commission estime :

03.1 Service Médical Rendu

La Commission considère que le service médical rendu par KALYDECO 150 mg, comprimé pelliculé, plaquette thermoformée est important dans le traitement de la mucoviscidose chez les patients âgés de 6 ans et plus et 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 Commission donne un avis favorable à l'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux et/ou sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités dans les indications/dans l'indication « le traitement de la mucoviscidose chez les patients âgés de 6 ans et plus et 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» et aux posologies de l'AMM.

► **Taux de remboursement proposé : 65%**

03.2 Amélioration du Service Médical Rendu

KALYDECO 150 mg, comprimé pelliculé, plaquette thermoformée est un complément de gamme qui n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V, inexistante) par rapport aux autres présentations déjà inscrites.

04 RECOMMANDATIONS DE LA COMMISSION

► Conditionnement

Il n'est pas adapté aux conditions de prescription. La Commission rappelle que conformément à ses délibérations en date du 20 juillet 2005, elle recommande pour les traitements d'une durée d'un mois, une harmonisation de la taille des conditionnements à 30 jours de traitement.