Paris, le 1er juin 2023. La décision de l'ANSM d'autoriser la prescription de Kaftrio®, dans un Cadre de Prescription Compassionnelle (CPC),
aux patients âgés de 6 ans et plus non porteurs d'une mutation F508del, quelle que soit la sévérité de la maladie, constitue une première mondiale et un formidable espoir pour 300 personnes malades.
Néanmoins,
l
es patients avec des mutations ne produisant pas de protéine
CFTR et les patients
greffés
pulmonaires
restent inéligibles au
Kaftrio
®
. Les efforts de la recherche en mucoviscidose doivent se poursuivre pour l'ensemble des patients
!

Le Kaftrio® est une révolution thérapeutique qui améliore significativement l'état de santé des patients atteints de mucoviscidose éligibles.

En France, l'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) du Kaftrio® concerne aujourd'hui les patients de 6 ans et plus ayant au moins une mutation F508del du gène CFTR. On estime qu'environ 3 500 patients sont actuellement traités par
Kaftrio
®
en France. Les patients non porteurs de mutation F508del sont exclus de ce
tte
AMM.

Des études encourageantes pour les patients non porteurs de mutation F508del

Aux Etats-Unis, des données expérimentales ont conduit la Food and Drug Administration américaine à étendre les indications de Kaftrio® à des patients non porteurs de la mutation F508del mais porteurs d'au moins une mutation parmi une liste de 177 mutations rares.

En France, en mai 2022, l'ANSM avait émis un premier Cadre de Prescription Compassionnelle (CPC) pour le Kaftrio® concernant les patients de 12 ans et plus, non porteurs d'une mutation F508del et ayant une atteinte pulmonaire sévère. Environ 120 patients ont bénéficié de ce programme de CPC avec une efficacité démontrée chez environ 60 patients. Les études menées par les équipes des Pr
Pierre-Régis
Burgel
(Hôpital Cochin – Port Royal AP-HP)
et Isabelle
Sermet-Gaudelus
(
Hôpital Necker
- Enfants malades AP-HP
), financées par Vaincre la Mucoviscidose, ont démontré l'efficacité de
Kaftrio
®
pour certains patients non porteurs d'une mutation F508del, et
ce
au-delà des 177 mutations ayant bénéficié d'une AMM aux Etats-Unis et au Royaume-Uni.

Demande d'élargissement du Cadre de Prescription Compassionnelle de Kaftrio® acceptée !

Compte tenu des données très encourageantes obtenues sur le CPC établi en mai 2022 chez les patients sévères , Vaincre la Mucoviscidose et le Centre de Référence Maladie Rare coordonnateur Mucoviscidose (CRMR) dirigé par le Pr
Pierre-Régis
Burgel
ont demandé une extension du CPC en février 2023.

L'ANSM vient de répondre favorablement à cette demande d'extension du CPC pour proposer le Kaftrio® à un plus grand nombre de patients en supprimant la nécessité d'avoir des critères de sévérité immédiate et en tenant compte de l'extension des AMM de
Kaftrio
®
aux patients de 6 à 11 ans (contre 12 ans et plus auparavant).

Le CPC Kaftrio® concerne dorénavantÂ :

- les patients atteints de mucoviscidose âgés de 6 ans et plus ;
- non porteurs d'une mutation F508del ; à l'exclusion des mutations ne produisant pas de protéine CFTR ;
- quelle que soit la sévérité de la maladie.

La décision prise par l'ANSM devrait permettre dans les prochaines semaines d'administrer Kaf trio
®
à près de 600 patients dans le cadre d'un protocole d'utilisation temporaire pendant une période de 2 mois.

« Dans le cadre du protocole d'utilisation temporaire, la décision de mise sous traitement fera l'objet d'un examen centralisé et pluridisciplinaire piloté par le CRMR coordonnateur. Après une période initiale de traitement par Kaftrio® de 4 à 6 semaines, l'efficacité du traitement étant rapide, il pourra être décidé de la poursuite du traitement si celui-ci est jugé efficace ou de son arrêt
s
i les effets bénéfiques sont jugés insuffisants.
Au regard d
es études précédemment menées, le traitement devrait s'avérer efficace pour environ 300 d'entre eux
» précise le
Pr
Pierre-Régis
Burgel
.

« La décision prise par l'ANSM constitue une première mondiale puisqu'elle va permettre à un grand nombre de
patients non porteurs d'une mutation F508del, quelle que soit la sévérité de la maladie, d'accéder à la trithérapie. L'action conjointe de Vaincre la Mucoviscidose et du CRMR Mucoviscidose permet de pousser
Kaftrio
®
au-delà des actuelles AMM et constitue un formidable espoir pour 300 patients
!
», souligne
David Fiant, président de Vaincre la Mucoviscidose.

Si Kaftrio® n'est pas un médicament qui permette de guérir de la mucoviscidose, son efficacité est importante en particulier sur la fonction respiratoire (gain moyen de VEMS de 14

points). C'est pourquoi, Vaincre la Mucoviscidose agit avec détermination depuis plus 3 ans auprès des autorités publiques françaises et européennes et du laboratoire pharma ceutique
Vertex pour accélérer toutes les procédures d'accès au traitement. «
Le résultat est à la hauteur de nos espérances, mais nous attendons avec impatience l'accès pour les patients âgés de 2 à 5 ans
,
pour lesquels une AMM est en cours d'examen auprès de l'EMA
(Agence européenne des médicaments)
et l'association espère que le
laboratoire
engagera
une demande d'accès précoce dès cet été
»
rajoute David Fiant.

Enfin le traitement risque de ne pas s'avérer efficace pour près de la moitié des patients testés dans le cadre du CPC. L'association Vaincre la Mucoviscidose continue ses efforts dans la recherche de traitements innovants pour tous les patients ne répondant pas aux thérapeutiques actuelles, notamment par le financement du programme Di-T-Cap à hauteur de 3 millions d'euros sur 3 ans.

À propos de Vaincre la Mucoviscidose

Créée en 1965 par des parents de jeunes patients et des soignants, Vaincre la Mucoviscidose se consacre à l'accompagnement des personnes malades et de leur famille dans chaque aspect de leur vie bouleversée par la maladie. L'association organise son action autour de quatre missions prioritaires : guérir, soigner, améliorer la qualité de vie, et informer et sensibiliser. L'association se bat jour après jour pour trouver des nouveaux traitements afin que chaque patient puisse vivre mieux avec la maladie, se projeter dans l'avenir et guérir un jour.

Défenseure acharnée des personnes malades et de leurs proches, elle milite pour faire entendre et faire reconnaître leurs droits. Vaincre la Mucoviscidose est une association reconnue d'utilité publique,
labellisée par le D
on en confiance et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie. En savoir plus
:
vaincrelamuco.org