

#LE SAVIEZ-VOUS ?

KAFTRIO®



SOMMAIRE

- Les bénéfices cliniques connus - 3
- Les patients concernés - 4
- Les patients transplantés - 5
- Les patients non éligibles - 5
- Vaincre la Mucoviscidose et Kaftrio® - 6

LE MÉDICAMENT KAFTRIO® FAIT PARTIE DE LA FAMILLE DES MODULATEURS DE LA PROTÉINE CFTR DONT LE DYSFONCTIONNEMENT OU L'ABSENCE EST RESPONSABLE DE LA MUCOVISCIDOSE.

Les modulateurs de CFTR visent à rétablir, tout au moins partiellement, la fonctionnalité de CFTR.

Produit par le laboratoire américain Vertex Pharmaceuticals, Kaftrio® est une **combinaison de trois molécules** (trithérapie), qui cible un large nombre de patients atteints de mucoviscidose.

CFTR (« *Cystic Fibrosis Transmembrane Regulator* ») : ce canal laisse passer des ions chlore à travers la membrane. CFTR est chargé d'assurer la fluidité du mucus normalement produit par les cellules d'une membrane qui tapisse les organes creux – comme les bronches, le tube digestif, les canaux du pancréas ou les canaux biliaires du foie.



Selon les données 2021 du Registre français de la mucoviscidose :

Environ 4 700

patients de 6 ans et plus ayant au moins 1 mutation F508del concernés par Kaftrio® à ce jour.

Plus de 700

enfants de 6 à 11 ans peuvent bénéficier de Kaftrio® depuis le 20 décembre 2022

Ivacaftor est le principe actif du médicament Kalydeco®, premier modulateur de CFTR mis sur le marché en 2012, en monothérapie.

CRCM : centre de ressources et de compétences de la mucoviscidose.

Registre français de la mucoviscidose : outil épidémiologique géré par l'association Vaincre la Mucoviscidose. En savoir plus : vaincrelamuco.org > Soigner aujourd'hui.

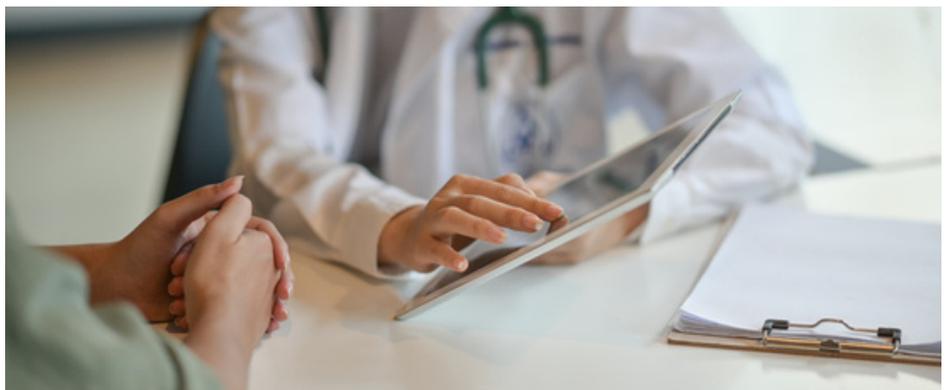
Kaftrio® est composé de :

- **2 correcteurs** de la protéine CFTR : tézacaftor et élexacaftor ;
- **1 potentiateur** (ou activateur) de CFTR : ivacaftor.

Les correcteurs permettent à la protéine CFTR défectueuse d'atteindre la membrane cellulaire. **Le potentiateur** améliore la fonction de la protéine CFTR défectueuse, dès lors qu'elle est à la membrane de la cellule.

Éliminé plus rapidement par l'organisme que les deux autres molécules, ivacaftor doit être pris deux fois par jour. C'est la raison pour laquelle, pour optimiser la dose du traitement, les patients doivent prendre deux types de comprimés : Kaftrio® qui inclut les 3 molécules (2 comprimés à prendre, en principe, le matin), et Kalydeco® (1 comprimé le soir).

Kaftrio® est prescrit en association avec Kalydeco® par les médecins de **CRCM**. Les deux traitements sont délivrés en pharmacie de ville.



LES BÉNÉFICES CLINIQUES CONNUS DE KAFTRIO®

Les différents **essais cliniques de phase 3** ont montré :

- une nette amélioration de la fonction respiratoire ;
- une baisse du nombre d'exacerbations (détériorations de l'état de santé) et des hospitalisations ;
- une prise de poids.

De plus, une étude a été menée en France chez des patients dont l'état de santé était sévère et ayant pu bénéficier du **traitement en usage compassionnel**. Cette étude a permis de confirmer les **bénéfices importants du traitement**, allant même pour certains jusqu'à la sortie de liste d'attente pour greffe pulmonaire.

Pour mieux connaître le traitement, au-delà des essais cliniques, les CRCM continuent de collecter des données cliniques sur le long terme et sur un nombre plus large de patients dans le cadre d'études en « vraie vie ». Ces études peuvent se faire grâce à la mobilisation des CRCM, mais également grâce au soutien de l'association.



EN SAVOIR +

Rendez-vous sur vaincrelamuco.org, rubrique Kaftrio® & Symkevi® ou cliquez ici.

www.



LES PATIENTS CONCERNÉS PAR KAFTRIO®

Kaftrio® apporte un **bénéfice plus important** en comparaison avec les autres modulateurs commercialisés et, de plus, s'adresse à une population plus large.

Depuis début juillet 2021, il peut être prescrit en France selon l'indication de la première autorisation de mise sur le marché (AMM), validée en août 2020 par l'Agence européenne du médicament (EMA), c'est à dire aux patients de 12 ans et plus, porteurs de **deux mutations F508del** ou d'une **mutation minimale**, associée à une mutation F508del.

À ce jour, **deux extensions de l'AMM** ont déjà été validées au niveau européen et mises en application en France après évaluation par la Haute autorité de santé (HAS). Elles permettent d'élargir l'indication aux **patients français âgés de 6 ans et plus et ayant au moins une mutation F508del** (peu importe la nature de la seconde mutation).
Quant aux **patients plus jeunes (2-5 ans)**, porteurs d'au moins une mutation F508del, les résultats des essais cliniques étant positifs, une demande d'extension d'AMM à cette tranche d'âge est prévue dans les mois à venir.



CHIFFRE CLÉ

Environ 460

patients âgés de 2 à 5 ans pourront bénéficier de Kaftrio® lorsque la demande d'extension d'AMM sera acceptée et mise en application en France.

Source : données 2021 du Registre français de la mucoviscidose.

Mutation minimale : la protéine CFTR n'est pas produite ou est non-fonctionnelle. On parle alors de fonction minimale.

KAFTRIO® ET LES PATIENTS TRANSPLANTÉS

CHIFFRE CLÉ

925

patients ont subi une transplantation pulmonaire.

Source : Registre français de la mucoviscidose

Du fait des interactions avec les médicaments antirejets, la prise de modulateurs n'est pas recommandée pour les patients transplantés, en particulier pour les transplantés pulmonaires.

En effet, le rapport bénéfique de la prise de modulateurs / risque de rejet du greffon est à évaluer.

Pour les patients ayant eu une greffe de foie ou d'un autre organe, ce rapport peut être favorable à la mise sous modulateurs (et plus particulièrement Kaftrio®). Dans tous les cas, cela doit se discuter avec le médecin du CRCM. Des études sont indispensables pour mieux appréhender cette problématique.

LES PATIENTS NON ÉLIGIBLES À KAFTRIO®

Du fait de son mécanisme d'action, l'efficacité de Kaftrio® et des autres modulateurs de CFTR est liée à la **production de la protéine CFTR**, même si elle est défectueuse. Lorsqu'il n'y a pas du tout de production de protéine CFTR, comme c'est le cas pour certains profils génétiques, les modulateurs sont **inefficaces**.

Environ 15% des patients français ne peuvent pas bénéficier de Kaftrio®. Pour cette raison, d'autres pistes de recherche ciblant directement les causes de la maladie, en amont de la production de la protéine CFTR (thérapie génique, thérapies ciblant l'ARN ou des canaux ioniques alternatifs à CFTR...), sont explorées pour pouvoir trouver des solutions thérapeutiques **pour tous les patients**, quel que soit leur profil génétique.

CHIFFRE CLÉ

ENVIRON
1 000

patients demeurent inéligibles à Kaftrio® en raison de leur profil génétique

VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE ET KAFTRIO®

L'association a joué et va continuer à jouer plusieurs rôles essentiels dans la mise à disposition de Kaftrio® pour les patients :

- Soutien au bon déroulement des **essais cliniques**, via la plateforme nationale de recherche clinique en mucoviscidose (PNRC) ;
- Suivi de l'accès compassionnel pour les **patients sévères** ;
- Contribution à l'évaluation par la Haute autorité de santé ;
- Actions de **lobbying** pour l'accélération de la mise à disposition de Kaftrio® ;
- Soutien financier aux **études en vraie vie** : support via la PNRC et implication du Registre français de la mucoviscidose. ■

EN SAVOIR +

[FAQ](#) mise à jour régulièrement

[Liste des traitements modulateurs de CFTR disponibles en France](#)

[Actualités](#)

[Plaquette](#) d'information destinée aux patients et à leur famille

www.

