

## **Vertex annonce un accord pour le remboursement d'ORKAMBI® (lumacaftor/ivacaftor) en France**

**PARIS** – le 20 novembre 2019 – Vertex Pharmaceuticals Incorporated (NASDAQ: VRTX) a aujourd'hui annoncé qu'un accord pour le remboursement d'ORKAMBI® (lumacaftor/ivacaftor) a été obtenu en France, permettant ainsi l'accès au traitement pour des patients éligibles atteints de mucoviscidose, âgés de 2 ans et plus, homozygotes pour la mutation *F508del* du gène *CFTR*. L'inscription d'ORKAMBI® sur les listes de remboursement sera effective suivant sa publication au Journal Officiel, attendue prochainement.

« Cette annonce signifie qu'en plus des patients adolescents et adultes concernés, les enfants de moins de 12 ans pourront désormais également bénéficier d'ORKAMBI® dès l'âge de 2 ans. Grâce à l'autorisation temporaire d'utilisation (ATU), les patients âgés de 12 ans et plus avaient déjà accès à ORKAMBI® depuis décembre 2015. Par ailleurs, l'inscription du médicament sur les listes de remboursement permettra une dispensation par les pharmacies de ville », a déclaré Gabriel Martin, directeur général de Vertex France. « Nous tenons à remercier les autorités françaises pour le travail accompli afin d'assurer un accès durable à tous les patients concernés. »

La Commission de Transparence de la Haute Autorité de Santé (HAS) considère que ORKAMBI® est un traitement de fond de première intention qui doit être prescrit d'emblée chez ces patients.

### **À propos de la mucoviscidose**

La mucoviscidose est une maladie génétique rare et mortelle qui touche environ 75 000 personnes dans le monde.

La mucoviscidose est une maladie évolutive et multisystémique qui affecte les poumons, le foie, le système gastro-intestinal, les sinus, les glandes sudoripares, le pancréas et le système reproducteur. La mucoviscidose est causée par l'altération de la protéine CFTR résultant d'une mutation du gène *CFTR*. Les enfants doivent hériter de deux gènes *CFTR* défectueux – un de chaque parent – pour être atteints de mucoviscidose. Il existe de multiples mutations connues du gène *CFTR*, la mutation *F508del* est la plus fréquente chez les personnes atteintes de la mucoviscidose. Ces mutations, qui peuvent être déterminées par un test génétique ou par un test de génotypage, sont responsables de la mucoviscidose en produisant trop peu ou pas assez de protéine CFTR à la surface de la cellule. Le caractère défectueux ou l'absence de protéine CFTR entraîne une altération des échanges de sel et d'eau entre l'intérieur et l'extérieur de la cellule dans un certain nombre d'organes. Dans les poumons, cela conduit à l'accumulation de mucus anormalement épais et collant qui peut causer des infections pulmonaires chroniques et des lésions pulmonaires progressives chez de nombreux patients, pouvant conduire au décès. L'âge médian de décès se situe autour de 30 ans.

### **À propos d'ORKAMBI® (lumacaftor/ivacaftor) et de la mutation *F508del***

Chez les personnes présentant deux copies de la mutation *F508del*, la protéine CFTR est affectée et ne circule pas normalement au sein de la cellule, générant peu ou pas de protéine

CFTR fonctionnelle à la surface de la cellule. Les patients ayant deux copies de la mutation *F508del* sont facilement identifiables au moyen d'un simple test génétique.

Lumacaftor/ivacaftor est une combinaison de la molécule lumacaftor, conçue pour augmenter la quantité de protéine mature à la surface des cellules en ciblant le défaut de production et de circulation de la protéine *F508del*-CFTR, et de la molécule ivacaftor, conçue pour améliorer la fonction de la protéine CFTR lorsque celle-ci atteint la surface cellulaire.

Pour des informations complètes au sujet du produit, un résumé des caractéristiques de celui-ci est disponible sur [www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu).

## À propos de Vertex

Vertex est un laboratoire de biotechnologie international qui investit dans la recherche scientifique afin de créer des médicaments innovants pour les patients atteints de maladies graves. En Europe, trois médicaments de Vertex sont approuvés, pour le traitement de la cause sous-jacente de la mucoviscidose, une maladie génétique rare engageant le pronostic vital. Le laboratoire déploie également plusieurs programmes cliniques et de recherche dans la mucoviscidose. Au-delà de la mucoviscidose et grâce à sa connaissance approfondie de la biologie humaine, Vertex dispose également d'un portefeuille de médicaments en cours d'investigation pour d'autres maladies graves comme la drépanocytose, la bêta-thalassémie, la douleur, le déficit en alpha-1 antitrypsine, la dystrophie musculaire de Duchenne et pour les maladies du rein à médiation APOL1.

Fondé en 1989 à Cambridge, dans le Massachussetts, le siège social monde de Vertex est désormais basé au sein de l'Innovation District de Boston, son siège international est basé à Londres. La société possède aujourd'hui des centres de recherche et de développement et des filiales opérationnelles aux États-Unis, en Europe, au Canada, en Australie et en Amérique Latine. Vertex est reconnu parmi les meilleures sociétés du secteur pour sa qualité de vie au travail. Vertex a été nommé parmi les "Top Employers" du magazine Science, dans le secteur des sciences de la vie, et ce durant dix années consécutives et figure, en 2019, parmi le top 5 du magazine Forbes des meilleurs employeurs en matière de diversité. Pour plus d'informations sur le groupe et ses dernières actualités, visitez le site [www.vrtx.com](http://www.vrtx.com).

Source : Vertex Pharmaceuticals Incorporated

### Contacts Presse :

**Vertex – Joanna Gargonne**  
[Joanna\\_gargonne@vrtx.com](mailto:Joanna_gargonne@vrtx.com)  
+33 (0)1 78 42 10 06

**Agence Zeno – Janna Boubendir**  
[Janna.boubendir@zenogroup.com](mailto:Janna.boubendir@zenogroup.com)  
+33 (0)1 86 21 50 70