



Communiqué de presse

**Pour sortir de l'impasse thérapeutique de nombreux patients, Vaincre la Mucoviscidose et le Centre de Référence Maladies Rares de la Mucoviscidose saisissent l'ANSM d'une demande d'élargissement du cadre de prescription compassionnelle de Kaftrio®**

Paris, le 21 février 2023. **Neuf mois après l'établissement d'un cadre de prescription compassionnelle (CPC) de Kaftrio® pour les patients non porteurs d'une mutation F508del, et au regard des résultats obtenus, Vaincre la Mucoviscidose et le Centre de Référence Maladies Rares de la Mucoviscidose saisissent l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) d'une demande d'élargissement du CPC aux patients âgés de 6 ans et plus, quelle que soit la sévérité de leur maladie.**

En mai 2022, l'ANSM a fait droit à la demande de Vaincre la Mucoviscidose et du Centre de Référence Maladies Rares de la Mucoviscidose en établissant un cadre de prescription compassionnelle à Kaftrio® pour les patients non porteurs d'une mutation F508del ayant une atteinte pulmonaire sévère. A ce jour, il n'existe en Europe aucune autorisation de mise sur le marché (AMM) pour les patients non porteurs d'une mutation F508del. Cette décision historique a donc été à la hauteur des enjeux et des attentes des personnes concernées.

**L'étude récente menée par le Pr Pierre Régis Burgel<sup>1</sup>, auprès des patients ayant bénéficié de ce cadre de prestation compassionnelle, a démontré l'importante efficacité du traitement.** Parmi les 84 premiers patients atteints de mucoviscidose avec une atteinte pulmonaire sévère inclus dans ce programme, Kaftrio® a été efficace pour **54 %** d'entre eux. Après seulement 4 à 6 semaines de traitement, nous pouvons constater les résultats suivants :

- diminution significative de la concentration de chlorures dans la sueur = -30 [-14 ; -43] mmol/l
- amélioration importante de la capacité respiratoire = + 10 points du VEMS [+6,0 ; + 25]
- augmentation du poids de 1,7kg [1,0 ; 3,0]
- diminution ou disparition de la toux et des exacerbations pour tous
- baisse du nombre de patients ayant recours à l'oxygénothérapie (de 44% à 29 %)

**De tels résultats sont comparables à ceux obtenus chez les patients porteurs d'au moins une mutation F508del** bénéficiant actuellement du Kaftrio® dans le cadre des autorisations de mise sur le marché délivrées par l'agence européenne. Il n'est pas rapporté d'effets indésirables autres que ceux précédemment observés.

Si aux Etats-Unis, Kaftrio® est accessible aux patients porteurs d'une des 177 mutations rares autorisées par la FDA<sup>2</sup> depuis 2021, en France, l'administration de ce même traitement dans le cadre du CPC a permis de démontrer parmi les patients pour lesquels il s'avérait efficace que :

- 51 % d'entre eux étaient porteurs d'une mutation approuvée par la FDA ;
- 49 % d'entre eux étaient porteurs de mutations non approuvées par la FDA.

Contrairement à la demande initiale qui avait aboutie à l'établissement de l'actuel cadre de prescription compassionnelle exclusivement chez les patients ayant une maladie pulmonaire sévère, Vaincre la

<sup>1</sup> <https://erj.ersjournals.com/content/early/2023/02/09/13993003.02437-202>

<sup>2</sup> FDA : Food and drug administration - Agence fédérale américaine des produits alimentaires et médicamenteux

Mucoviscidose et le Centre de Référence de la Mucoviscidose souhaitent que tous les patients concernés puissent en disposer quel que soit leur état de santé. A défaut, ils seraient contraints d'attendre une dégradation irréversible de leur fonction respiratoire ; ce que précisément l'administration précoce du Kaftrio® permettrait d'éviter. Il y a donc urgence à sortir ces patients de l'impasse thérapeutique dans laquelle ils se trouvent et leur autoriser l'accès à Kaftrio®.

Aussi, devant de tels résultats, **Vaincre la Mucoviscidose et le Centre de Référence Maladies Rares de la Mucoviscidose viennent de saisir l'ANSM d'une demande d'élargissement du cadre de prescription compassionnelle de Kaftrio® en association avec Kalydeco®** pour les patients atteints de mucoviscidose **âgés de 6 ans et plus**, non porteur d'une mutation F508del et non transplantés pulmonaires, quelle que soit la sévérité de la maladie pulmonaire, à l'exception des patients porteurs de mutations de type stop et/ou d'épissage sévère qui au regard de l'étude ne sont pas répondeurs à Kaftrio®.

*« La volonté de l'association est de ne laisser aucun patient sans solution thérapeutique efficace. Aussi notre intention est de permettre à tous les patients d'accéder à Kaftrio® dès lors qu'ils peuvent être répondeurs. Pour sauver des vies, il est urgent d'aller au-delà des limites administratives actuelles du Kaftrio® »,* déclare **David Fiant, président de Vaincre la Mucoviscidose.**

Selon le Registre Français de la Mucoviscidose, la population concernée par cet élargissement du cadre de prescription compassionnelle est de 587 patients ce qui pourrait être efficace pour 300 d'entre eux.

#### **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 Don en confiance et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie. En savoir plus : [vaincrelamuco.org](http://vaincrelamuco.org)

-----  
**Contact presse :**

**Elodie Audonnet**

**[eaudonnet@vaincrelamuco.org](mailto:eaudonnet@vaincrelamuco.org)**

01 40 78 91 96