



Communiqué de presse

Mucoviscidose : élargissement de l'accès au Kafrio® pour les enfants âgés de 2 à 5 ans porteurs d'une mutation F508del

Grâce aux derniers accès précoces, près des ¾ de la population d'enfants et adultes atteints pourront bénéficier de la trithérapie

Paris, le 11 septembre 2023. **La Haute autorité de santé (HAS) vient d'autoriser l'accès précoce à Kafrio® pour les patients âgés de 2 à 5 ans porteurs d'une mutation F508del et à ceux âgés de 6 ans et plus porteurs de l'une de 177 mutations réputées répondeuses au traitement. Grâce aux différents élargissements de l'accès, 72 % de la population pourront dès à présent bénéficier de Kafrio®.**

Ainsi, dès l'âge de 2 ans, les patients atteints de mucoviscidose porteurs d'une mutation F508del vont à présent pouvoir bénéficier de Kafrio® grâce à l'accès précoce qui vient d'être autorisé par la HAS. Selon les données 2022 du Registre français de la mucoviscidose, 500 enfants sont concernés par ce dispositif. C'est un immense espoir pour ces patients et leur famille, celui de freiner dès le plus jeune âge l'évolution de la maladie et notamment la dégradation de leur état de santé en particulier sur le plan respiratoire. Quelques enfants âgés de 2 à 5 ans avaient pu en bénéficier en France à titre compassionnel. Leurs parents ont pu mesurer l'impact très favorable pour leur enfant à l'instar de Melissa, maman d'Arthur âgé de 3 ans, qui a été appelée à témoigner devant la Commission de la transparence de la HAS lors de l'audition demandée par Vaincre la Mucoviscidose : *« C'est notre médicament formidable, on peut vivre une vie « presque normale ».*

La HAS vient également d'autoriser l'accès précoce pour les patients âgés de 6 ans et plus, non porteurs d'une mutation F508del et porteurs d'une des 177 mutations rares identifiées comme répondeuses à Kafrio® et précédemment incluses dans les AMM aux Etats-Unis et en Grande-Bretagne. En France, même si ces patients pouvaient déjà en bénéficier, grâce à l'élargissement du cadre de prescription compassionnelle (CPC) décidé par l'ANSM en juin 2023 à la demande de Vaincre la Mucoviscidose et du Centre national référence de maladies rares, cette autorisation illustre la volonté des autorités sanitaires de faire bénéficier le plus grand nombre de patients. A cet égard, déjà près de 500 patients, non porteurs d'une mutation F508del ont pu initier le traitement grâce au cadre de prescription compassionnelle. Les premiers résultats confirment un taux de réponse positif similaire à celui attendu : 50 % des patients ayant ce type de profil génétique sont répondeurs.

Selon les données du Registre français de la mucoviscidose, 50,7% de l'ensemble des patients ont bénéficié de Kafrio® en 2022. Au regard des différentes autorisations successives délivrées depuis lors, près des ¾ (72%) de la population atteinte de la mucoviscidose peut à présent accéder à la trithérapie, soit environ 5500 patients.

A l'inverse, 28% des patients, soit environ 2200, en sont encore exclus en raison de leur profil génétique ou du fait qu'ils sont greffés ou des enfants de moins de deux ans.

« C'est une très grande satisfaction de voir que les autorités sanitaires et la communauté médicale ont su répondre aux attentes des patients. Mais ne l'oublions pas, si Kaftrio® a un impact favorable très important notamment sur la fonction respiratoire, il ne permet pas de guérir de la mucoviscidose. Et près de 2000 patients ne peuvent en bénéficier en raison de leur profil génétique ou parce qu'ils sont greffés ». déclare **David Fiant, président de Vaincre la Mucoviscidose.**

C'est pour ces patients que Vaincre la Mucoviscidose renforce son soutien à la recherche dans un programme baptisé « Di-T-CAP », soit 3 millions d'euros sur 3 ans en plus de son appel à projet annuel d'un montant de plus de 2 millions d'euros.

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. Vaincre la Mucoviscidose est une association reconnue d'utilité publique, agréée par le Comité de la charte du don en confiance et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie. En savoir plus : vaincrelamuco.org

Contact presse :

Elodie Audonnet

eadonnet@vaincrelamuco.org

01 40 78 91 96