



## **Kaftrio® : accès compassionnel hors AMM à la demande d'une association de patients, une première en France**

L'agence française du médicament (ANSM) a fait droit ce jour à la demande de Vaincre la Mucoviscidose concernant la fixation d'un cadre de prescription compassionnelle (CPC) pour Kaftrio®. C'est la première fois, depuis l'entrée en vigueur de la réforme de l'accès compassionnel, qu'une association de patients agréée de santé obtient de l'ANSM la fixation d'un CPC.

Partant du constat qu'aux États-Unis puis en Grande-Bretagne, l'autorisation de mise sur le marché avait été étendue à 177 mutations rares sur la base de données sur lignées cellulaires, l'association a souhaité ouvrir la voie à des prescriptions hors autorisation de mise sur le marché (AMM). En effet, des CRCM pionniers et entreprenants sous l'égide du Centre national de référence ont pu initier le traitement pour des patients en situation critique jusque-là non éligibles par leurs mutations, après accord de remboursement négocié avec des Caisses d'Assurance Maladie. Ils ont pu observer des réponses spectaculaires au traitement, la majorité des patients étant porteurs de mutations rares au-delà des 177 mutations « américaines ».

Dans ces conditions, l'association s'est rapprochée des pouvoirs publics, pour que les patients français non porteurs d'une mutation F508 puissent en bénéficier dans le cadre d'un accès compassionnel national.

En pratique, les patients non porteurs de mutation F508del présentant une atteinte respiratoire sévère, non greffés et âgés de plus de 12 ans vont ainsi avoir accès à Kaftrio®. L'efficacité de Kaftrio® sera évaluée après un délai de 4 à 6 semaines de traitement par un comité d'experts. Le nombre de patients concernés est évalué à une cinquantaine selon les données du Registre français de la mucoviscidose. Pour les bons répondeurs au traitement, celui-ci sera remboursé et accessible en pharmacie hospitalière.

« Grâce à cette possibilité d'accès compassionnel, des vies vont être sauvées, et je remercie l'ANSM d'avoir répondu favorablement à notre demande, et aux CRCM particulièrement engagés d'avoir ouvert la voie » se réjouit Pierre Foucaud, Président de Vaincre la Mucoviscidose.

Une telle perspective constitue également une première mondiale dans l'accès à Kaftrio® car cela concerne des patients au-delà des 177 mutations rares ayant fait l'objet d'une AMM aux Etats-Unis et en Grande Bretagne.

L'association est déterminée à agir pour que toutes les personnes atteintes de mucoviscidose bénéficient d'un traitement efficace, que ce soit dans l'élargissement des autorisations de mise sur le marché des médicaments ayant fait leur preuve, ou dans le soutien de la recherche au bénéfice des patients non éligibles ou greffés. Elle rappelle qu'à ce jour, il n'existe aucun médicament qui permette de guérir de la mucoviscidose.

Paris, le 18 mai 2022

**Contact presse :**  
**Sandrine Jobbin**  
[sjobbin@vaincrelamuco.org](mailto:sjobbin@vaincrelamuco.org)  
**01 40 78 91 75 – 06 70 79 17 11**