

Accès aux modulateurs de CFTR en France en date du 20/12/2022

Classe d'âge/ Profil génétique	homozygote F508del/F508del	F508del/fonction résiduelle ¹	F508del/fonction minimale ²	F508del/gating ³	sans F508del avec une gating ³	sans F508del ni gating ³
12 ans et plus	Kaftrio® Symkevi® Orkambi®	Kaftrio® Symkevi®	Kaftrio®	Kaftrio® Kalydeco®	Kalydeco® Kaftrio® <i>accès compassionnel selon critères⁴</i>	Kaftrio® <i>accès compassionnel selon critères⁴</i>
6 à 11 ans	Kaftrio® Symkevi® Orkambi®	Kaftrio® Symkevi®	Kaftrio®	Kaftrio® Kalydeco®	Kalydeco®	aucun modulateur
2 à 5 ans	Orkambi®	aucun modulateur	aucun modulateur	Kalydeco®	Kalydeco®	aucun modulateur
4 mois (et > 5kg) à 1 an	aucun modulateur	aucun modulateur	aucun modulateur	Kalydeco®	Kalydeco®	aucun modulateur

1 Mutation résiduelle : La protéine CFTR est produite, mais est en faible quantité ou ne fonctionne que partiellement

2 Mutation minimale : La protéine CFTR n'est pas produite ou n'est pas fonctionnelle

3 Mutations gating : G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R

4 patient sans F508del présentant une atteinte respiratoire sévère et âgé d'au moins 12 ans



L'accès aux modulateurs pour les patients transplantés pulmonaires n'est pas recommandé mais peut faire l'objet d'une discussion avec l'équipe médicale.