

## Accès aux modulateurs de CFTR en France en date du 15 septembre 2025

Classe d'âge/ Profil génétique	homozygote F508del/F508del	F508del/fonction résiduelle <sup>1</sup>	F508del/gating <sup>3</sup>	F508del/autre*	sans F508del avec une gating <sup>3</sup>	sans F508del ni gating et au moins une mutation autre que de classe I	2 mutations de classe I dont une connue pour être répondeuse à Kaftrio®
12 ans et plus	Kaftrio® Symkevi® Orkambi®	Kaftrio® Symkevi®	Kaftrio® Kalydeco®	Kaftrio®	Kalydeco® Kaftrio® <i>en accès précoce</i>	Kaftrio® <i>en accès précoce</i>	Kaftrio® <i>via le cadre de prescription compassionnelle</i>
6 à 11 ans	Kaftrio® Symkevi® Orkambi®	Kaftrio® Symkevi®	Kaftrio® Kalydeco®	Kaftrio®	Kalydeco® Kaftrio® <i>en accès précoce</i>	Kaftrio® <i>en accès précoce</i>	Kaftrio® <i>via le cadre de prescription compassionnelle</i>
2 à 5 ans	Orkambi® Kaftrio®	Kaftrio®	Kalydeco® Kaftrio®	Kaftrio®	Kalydeco®	Kaftrio® <i>en accès précoce</i>	aucun modulateur
1 an à < 2 ans	Orkambi®	aucun modulateur	Kalydeco®	aucun modulateur	Kalydeco®	aucun modulateur	aucun modulateur
1 mois (et > 5kg) à 12mois	aucun modulateur	aucun modulateur	Kalydeco®	aucun modulateur	Kalydeco®	aucun modulateur	aucun modulateur

<sup>1</sup> Mutation résiduelle : la protéine CFTR est produite, mais est en faible quantité ou ne fonctionne que partiellement

<sup>2</sup> Mutation minimale : la protéine CFTR n'est pas produite ou n'est pas fonctionnelle

<sup>3</sup> Mutations gating : G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R

\* peu importe la nature de la seconde mutation

Kaftrio® et Symkevi® sont prescrits en association avec Kalydeco®

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

**Ce tableau est mis à jour en septembre 2025.** Les données y figurant sont susceptibles d'évoluer au cours du temps.

