

Accès aux modulateurs de CFTR en France en date du 27/10/2023

Classe d'âge/ Profil génétique	homozygote F508del/F508del	F508del/fonction résiduelle ¹	F508del/gating ³	F508del/autre*	sans F508del avec une gating ³	177 mutations répondeuses à Kaftrio® ⁴	sans F508del ni gating, ni une des 177 mutations repondeuses à Kaftrio®
12 ans et plus	Kaftrio® Symkevi® Orkambi®	Kaftrio® Symkevi®	Kaftrio® Kalydeco®	Kaftrio®	Kalydeco® Kaftrio® en accès précoce	Kaftrio® en accès précoce	Kaftrio® en accès compassionnel
6 à 11 ans	Kaftrio® Symkevi® Orkambi®	Kaftrio® Symkevi®	Kaftrio® Kalydeco®	Kaftrio®	Kalydeco® Kaftrio® en accès précoce	Kaftrio® en accès précoce	Kaftrio® en accès compassionnel
2 à 5 ans	Orkambi® Kaftrio® en accès précoce	Kaftrio® en accès précoce	Kalydeco® Kaftrio® en accès précoce	Kaftrio® en accès précoce	Kalydeco®	aucun modulateur	aucun modulateur
1 an à < 2 ans	Orkambi®	aucun modulateur	Kalydeco®	aucun modulateur	Kalydeco®	aucun modulateur	aucun modulateur
4 mois (et > 5kg) à 12mois	aucun modulateur	aucun modulateur	Kalydeco®	aucun modulateur	Kalydeco®	aucun modulateur	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

⁴ 177 mutations réputées répondeuses à Kaftrio® : voir liste page suivante

* 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 avec l'équipe médicale.

Ce tableau est mis à jour en octobre 2023. Les données y figurant sont susceptibles d'évoluer au cours du temps.

