

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.

