

## **MUCOVISCIDOSE : VERS UNE EXTENSION D'INDICATION HISTORIQUE DE KAFTRIO EN EUROPE**

L'agence européenne du médicament (EMA) suivant l'avis de son comité des médicaments à usage humain (CHMP) devrait prochainement autoriser une extension d'indication de Kaftrio aux patients atteints de mucoviscidose à partir de l'âge de 2 ans et porteurs d'au moins une mutation qui n'est pas de classe 1 (produisant une protéine CFTR). Jusqu'à maintenant, l'autorisation de mise sur le marché (AMM) ne concernait que les patients porteurs d'au moins une mutation F508del, la mutation la plus répandue. A terme, plus de 2 500 patients en Europe devraient pouvoir bénéficier de ce traitement, qui s'il ne permet pas de guérir, améliore significativement la santé respiratoire et la qualité de vie des personnes atteintes de mucoviscidose. Formellement la décision de l'EMA devrait intervenir dans un délai maximum de 2 mois, délai dont dispose la Commission européenne pour la rendre applicable.

L'avis favorable du CHMP est le fruit d'une instruction de plus d'un an qui s'est appuyée sur les données du laboratoire au travers d'essais cliniques portant sur seulement une vingtaine de mutations et de tests in vitro, ainsi que des données de vie réelle des patients américains. Mais surtout, le CHMP a pris en compte les résultats récents d'une étude en vie réelle, financée par Vaincre la Mucoviscidose, et réalisée par le Pr Pierre-Régis Burgel (Hôpital Paris-Cochin) en collaboration avec l'ensemble des CRCM, incluant des patients non porteurs de la mutation F508del bénéficiant d'un cadre de prescription compassionnelle. Cette étude a permis de démontrer que ce médicament était aussi efficace et dans les mêmes conditions de sécurité pour des patients porteurs de bien d'autres mutations que celles ayant fait l'objet d'essais cliniques ou de tests in vitro. C'est pourquoi, Vaincre la Mucoviscidose ainsi que l'ensemble de la communauté européenne des patients (CF Europe) et des soignants (ECFS) s'étaient mobilisées auprès de l'EMA pour qu'une telle décision intervienne.

**« C'est une décision historique qui intervient le jour de la journée internationale des maladies rares ! » se réjouit David Fiant, président de Vaincre la Mucoviscidose.**

Historique également car pour la première fois, l'agence européenne prend en compte des études en vie réelle pour délivrer une extension d'indication. Cette manière d'évaluer un médicament pourrait avoir un impact positif pour l'évaluation future de nouveaux traitements dans la mucoviscidose, ou dans d'autres maladies ultra rares pour lesquelles, au regard du nombre de patients concernés, il est impossible de réaliser des essais cliniques. En France, cette décision aura certes un impact limité puisque l'ANSM avait autorisé, à la demande de Vaincre la Mucoviscidose et du Centre national maladie rare mucoviscidose, un cadre de prescription compassionnelle pour les patients sans mutation F508del dès l'âge de 6 ans. Ainsi, la France aura largement contribué à permettre un tel aboutissement au niveau européen. Une fois franchies les procédures d'évaluation et de remboursement par la HAS et le CEPS, Kaftrio sera commercialisé en France pour les patients à partir de 2 ans, concernés par cette nouvelle extension d'AMM.

### **A propos de Vaincre la Mucoviscidose :**

Créée en 1965 par des parents de jeunes patients et des soignants, Vaincre la Mucoviscidose se consacre à l'accompagnement des personnes malades et de leur famille dans chaque aspect de leur vie bouleversée par la maladie. L'association organise son action autour de quatre missions prioritaires : guérir, soigner, améliorer la qualité de vie, et informer et sensibiliser. L'association se bat jour après jour pour trouver des nouveaux traitements afin que chaque patient puisse vivre mieux avec la maladie, se projeter dans l'avenir et guérir un jour. Défenseure acharnée des personnes malades et de leurs proches, elle milite pour faire entendre et faire reconnaître leurs droits. Vaincre la Mucoviscidose est une association reconnue d'utilité publique, labellisée par le Don en confiance et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie. En savoir plus : [vaincrelamuco.org](http://vaincrelamuco.org)

### **Contact presse :**

**Pierre GERARD**

[pgerard@vaincrelamuco.org](mailto:pgerard@vaincrelamuco.org) - 07 52 05 34 96