



COMMISSION DE LA TRANSPARENCE SYNTHESE D'AVIS 30 JUIN 2021

ivacaftor
KALYDECO 25 mg, 50 mg et 75 mg granulés en sachet

Nouvelle indication

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement des **nourrissons âgés d'au moins 4 mois à moins de 6 mois, pesant de 5 kg à moins de 25 kg** atteints de mucoviscidose porteurs de l'une des mutations de défaut de régulation (classe III) du gène *CFTR* spécifiée dans le libellé de l'AMM.

► Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique dans la prise en charge de la mucoviscidose des patients âgés de 4 mois à moins de 6 mois porteurs de l'une des mutations de défaut de régulation (classe III) du gène *CFTR* spécifiée dans le libellé de l'AMM.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

La prise en charge des patients atteints de mucoviscidose nécessite l'intervention d'une équipe pluridisciplinaire (médecin traitant, centres spécialisés, équipe paramédicale avec kinésithérapeute et infirmière). La prise en charge symptomatique, nécessaire à vie, repose sur 4 types d'interventions complémentaires à visée symptomatique :

- la prise en charge respiratoire : kinésithérapie, dornase alfa inhalé (qui ne peut pas être administrée chez des patients de moins de 5 ans), antibiothérapie,
- la prise en charge nutritionnelle et digestive,
- la mise en place d'une prévention optimale des infections pulmonaires respectant le calendrier vaccinal,
- l'éducation thérapeutique des patients.

Place du médicament

Comme chez l'enfant âgé de 6 mois et plus, KALYDECO (ivacaftor) est un traitement de fond de la mucoviscidose qui doit être prescrit d'emblée aux patients avec mucoviscidose âgés d'au moins 4 mois à moins de 6 mois et pesant de 5 kg à moins de 25 kg, porteurs de l'une des mutations de défaut de régulation (classe III) du gène *CFTR* spécifiées dans l'AMM.

La durée de traitement optimale par KALYDECO (ivacaftor) n'est pas connue, mais il s'agit probablement d'un traitement à vie.