



ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

Autorisation d'une mise sur le marché du kafrio pour la mucoviscidose

Question écrite n° 33800

Texte de la question

M. Didier Le Gac attire l'attention de M. le ministre des solidarités et de la santé sur le traitement de la mucoviscidose. Il y a un an, l'agence américaine du médicament a autorisé un nouveau traitement, le kafrio®, trithérapie de *Vertex Pharmaceuticals* commercialisée aux États-Unis d'Amérique sous le nom de trikafta®. Les résultats de cette trithérapie sont encourageants puisqu'elle permettrait aux malades de regagner de 10 % à 20 % de leur capacité pulmonaire. En août 2020, la Commission européenne a émis un avis favorable pour la commercialisation de cette trithérapie mais il faut désormais trouver un accord en France avant son AMM, autorisation de mise sur le marché, entre le Conseil économique des produits de santé (CEPS), l'assurance maladie et le laboratoire fabriquant la molécule. Pour l'instant, seule une ATUN, autorisation temporaire d'utilisation nominative, a été accordée, permettant à 200 patients, parmi les plus sévèrement touchés, de bénéficier de ce traitement. C'est la raison pour laquelle il souhaiterait savoir comment et quand cette trithérapie, le kafrio, pourra bénéficier d'une AMM.

Texte de la réponse

La Haute autorité de santé a octroyé une amélioration du service rendu de niveau II pour deux spécialités pharmaceutiques Kafrio et Symkevi concernant la prise en charge thérapeutique de la mucoviscidose pour l'ensemble des patients âgés de 12 ans et plus. Les essais cliniques ont démontré un gain supplémentaire d'efficacité et de qualité de vie pour les patients. Le Comité économique des produits de santé a négocié un accord avec le laboratoire Vertex permettant la commercialisation en France de ces deux spécialités pharmaceutiques, avec une prise en charge à 100 % par l'assurance maladie. Ainsi, les patients atteints de mucoviscidose vont pouvoir bénéficier de traitements innovants et efficaces. Ces nouveaux traitements seront disponibles très rapidement dans les officines de pharmacie et pris en charge par l'assurance maladie.

Données clés

Auteur : [M. Didier Le Gac](#)

Circonscription : Finistère (3^e circonscription) - La République en Marche

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 33800

Rubrique : Pharmacie et médicaments

Ministère interrogé : [Solidarités et santé](#)

Ministère attributaire : [Solidarités et santé](#)

Date(s) clé(s)

Question publiée au JO le : [10 novembre 2020](#), page 7926

Réponse publiée au JO le : [13 juillet 2021](#), page 5594