



Communiqué de presse

**Sous embargo jusqu'à samedi 16 décembre – 23h45**

**Kaftrio<sup>®</sup>, médicament innovant dans le traitement de la mucoviscidose,  
devient accessible pour les enfants âgés de 6 à 11 ans !**

**Le plus beau cadeau de Noël pour les enfants atteints de mucoviscidose**

Paris, le 17 décembre 2022. Et si cette année, le plus beau des cadeaux se trouvait sous le sapin des enfants atteints de mucoviscidose. Ce rêve sera bel et bien exaucé pour les enfants âgés de 6 à 11 ans. Près d'un an après l'extension de l'AMM européenne, un accord vient d'être signé entre la France et le laboratoire Vertex Pharmaceuticals pour le remboursement du Kaftrio<sup>®</sup> pour tous les enfants âgés de 6 à 11 ans porteurs d'au moins une mutation F508del. Les associations Grégory Lemarchal et Vaincre la Mucoviscidose se félicitent de cette nouvelle étape dans le processus d'élargissement de l'accès à Kaftrio<sup>®</sup>, traitement qui a déjà fait ses preuves auprès de patients adultes.

*« C'est avec le cœur rempli d'émotions et un sentiment de soulagement que nous accueillons cette nouvelle extension pour les enfants âgés de 6 à 11 ans ! C'est une grande et belle étape de franchie ! L'association Vaincre la Mucoviscidose et l'Association Grégory Lemarchal ont une nouvelle fois démontré leur capacité à répondre présentes face aux enjeux vitaux liés à la mucoviscidose. Mais dès demain, nous avons l'impérieux devoir de poursuivre notre combat pour les personnes porteuses de mutations rares, les patients greffés pulmonaires et tous ceux d'entre nous qui attendent une réponse thérapeutique efficace »* déclare **David Fiant, président de Vaincre la Mucoviscidose.**

### **Un accord intervenu sous pression**

Les personnes atteintes de mucoviscidose de 12 ans et plus, porteuses d'au moins une mutation F508del, peuvent, depuis juin 2021, bénéficier d'une trithérapie prothéique innovante : le Kaftrio<sup>®</sup>. La réglementation en vigueur laissait dans l'attente les enfants âgés entre 6 et 11 ans.

Après une extension de l'autorisation européenne de mise sur le marché pour les patients de 6-11 ans en janvier 2022, un accord vient enfin d'être signé en France. Depuis plusieurs mois, l'**Association Grégory Lemarchal** et **Vaincre la Mucoviscidose** ont multiplié les initiatives auprès des autorités sanitaires et du laboratoire Vertex pour que le Kaftrio<sup>®</sup> soit accessible à la fin de l'année pour tous les enfants âgés de 6 à 11 ans, porteurs d'au moins une mutation F508del. C'est à présent chose faite !

La commercialisation du Kaftrio<sup>®</sup> devrait être effective dans les prochains jours, après la publication au Journal Officiel (JO) de l'arrêté actant son remboursement. Vaincre la Mucoviscidose est d'ores et déjà intervenue auprès du cabinet de François Braun, ministre des Solidarités et de la Santé pour que cette formalité soit réalisée dans les plus brefs délais.

### **Kaftrio<sup>®</sup> : un grand espoir, mais toujours pas de guérison**

En France, grâce à cette extension d'autorisation de mise sur le marché, **plus de 700 nouveaux patients** pourront bénéficier de cette thérapie innovante. Dès la parution de l'arrêté au JO, les patients âgés de 6 ans et plus, porteurs d'au moins une mutation F508del, quelle que soit la deuxième mutation, pourront se

faire prescrire ce nouveau traitement de fond par leur médecin de CRCM (Centre de ressources et de compétences de la mucoviscidose) et le commander en pharmacie de ville.

L'efficacité et la bonne tolérance du Kaftrio® chez les enfants âgés de 6-11 ans ont été démontrées lors des essais cliniques et évaluées positivement par la Haute Autorité de santé. Si ce traitement ne permet pas de guérir la mucoviscidose, il permet d'espérer une évolution radicalement différente de la maladie, en préservant et stabilisant le capital santé de ces enfants.

*« À force de ténacité, on récolte toujours ce que l'on sème. Face à ces excellentes nouvelles, soyons tous très fiers d'avoir fait en sorte que l'« espoir » est tout sauf un vain mot. Mes pensées vont particulièrement et plus que jamais à toutes celles et tous ceux qui ne peuvent bénéficier pour l'instant de ces nouveaux traitements. Et c'est pourquoi nous ne devons rien lâcher car il nous reste encore une longue route. Une route qui nous mènera, j'en suis convaincu, à d'autres étapes toutes aussi importantes et réjouissantes que ces dernières. C'est pourquoi, nous devons être encore plus forts et surtout rester unis, associations, bénévoles, collaborateurs, donateurs..., et atteindre ensemble ce que Brel définissait dans sa quête comme « l'Inaccessible Etoile ». »* déclare **Pierre Lemarchal, président de l'Association Grégory Lemarchal.**

### **35% des patients en attente d'innovation thérapeutique : le combat continue**

Au cours du premier trimestre 2023, **ce seront près de 5 000 personnes atteintes de mucoviscidose qui auront pu accéder à ce traitement innovant en France.** L'Association Grégory Lemarchal et Vaincre la Mucoviscidose se réjouissent de ce nouvel objectif atteint.

Néanmoins, **près de 35% des patients atteints de mucoviscidose restent toujours en attente** d'une innovation thérapeutique, leur permettant d'améliorer leur qualité de vie au quotidien.

Plus que jamais, le combat continue et s'intensifie pour que tous les patients, y compris ceux qui ne peuvent pas bénéficier pas de Kaftrio® du fait de leur profil génétique ou d'une transplantation pulmonaire, puissent disposer au plus vite de solutions thérapeutiques efficaces. Vaincre la Mucoviscidose a décidé de consacrer chaque année 1 million d'euros supplémentaires par an (soit au total près de 4 millions d'euros par an) au financement de projets innovants visant ces populations non éligibles à Kaftrio®. En outre, la recherche doit s'intensifier, car en dépit des effets impressionnants de la trithérapie, elle ne guérit toujours pas la mucoviscidose.

[Venez rencontrer personnes malades, familles, bénévoles, salariés de Vaincre la Mucoviscidose demain, dimanche 18 décembre à l'eSpot Paris, réunis pour l'événement caritatif Stream Against Muco :](#)

150 Rue de Rivoli  
75001 Paris

#### **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 :**

**Elodie Audonnet**

[eaudonnet@vaincrelamuco.org](mailto:eaudonnet@vaincrelamuco.org)

01 40 78 91 96