Mucoviscidose : un traitement obtient une ATU

Zitouni IMOUNACHEN - 2015-11-04 16:08:48 - Vu sur pharmacie.ma

Orkambi, une association de lumacaftor et d'ivacaftor (200 mg/125 mg), vient d'obtenir une autorisation temporaire d'utilisation de cohorte (ATUc) en France. Grâce à ce dispositif, l'Orkambi pourra être prescrit par les médecins aux patients atteints de mucoviscidose, et sera délivré en pharmacie hospitalière, en attendant son autorisation de mise sur le marché (AMM).

Ce traitement commercialisé par le Laboratoire Vertex, est indiqué chez les patients de 12 ans et plus atteints de la mutation la plus fréquemment responsable de la mucoviscidose (mutation F508del du gène CFTR).

Contrairement aux traitements actuels, Orkambi s'attaque aux causes de la maladie et non aux symptômes. Selon les essais cliniques, il permet une amélioration modérée mais significative de la fonction respiratoire, une diminution des exacerbations pulmonaires nécessitant des cures antibiotiques par intraveineuse, une prise de poids et une amélioration de la qualité de vie. D'après le Registre français de la mucoviscidose, 1?500 patients pourraient être potentiellement concernés. L'association Vaincre la mucoviscidose « se réjouit de cette nouvelle étape thérapeutique importante pour les patients qui pourront en bénéficier ».