



La Commission européenne a approuvé le 4 avril 2025 l'extension d'indication de KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) en association avec KALYDECO® (ivacaftor) aux patients atteints de mucoviscidose âgés de **2 ans et plus**, porteurs d'une **mutation du gène CFTR qui n'est pas de classe I**.

Environ 4000 personnes atteintes de mucoviscidose et porteuses de mutations rares non-F508del dans l'Union européenne peuvent bénéficier pour la première fois d'un médicament qui traite la cause sous-jacente de leur maladie.

Pour plus d'informations, voir le communiqué de presse international en pièce jointe de cet email (également disponible [ici](#)).

Bonne journée,

Contacts presse :

Edouard Klein : edouard_klein@vrtx.com 06 31 80 04 56

Safa Lamghari : safa.lamghari@omnicomprgroup.com 06 22 48 59 07

Heloise Sintès : heloise.sintes@omnicomprgroup.com 06 77 79 09 33

À propos de KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) en association avec l'ivacaftor

Chez les personnes présentant certains types de mutations du gène CFTR, la protéine CFTR n'est pas maturée ou repliée normalement dans la cellule, ce qui peut l'empêcher d'atteindre la surface cellulaire et de fonctionner correctement. KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) en association avec l'ivacaftor est un médicament utilisé par voie orale conçu pour augmenter la quantité et la fonction de la protéine CFTR à la surface des cellules. L'elexacaftor et le tezacaftor agissent ensemble pour augmenter la quantité de protéine mature à la surface des cellules en se liant à différents sites sur la protéine CFTR. L'ivacaftor, connu en tant que potentiateur de CFTR, a été conçu pour faciliter la capacité des protéines CFTR à transporter le sel et l'eau à travers la membrane cellulaire. Les actions combinées de l'ivacaftor, de l'elexacaftor et du tezacaftor contribuent à hydrater et éliminer le mucus des voies respiratoires.

Pour obtenir des informations complètes sur le produit, veuillez consulter le Résumé des Caractéristiques du Produit qui se trouve sur <http://www.ema.europa.eu>

À propos de KALYDECO® (ivacaftor)

Chez les personnes présentant certains types de mutations du gène CFTR, la protéine CFTR située à la surface des cellules ne fonctionne pas correctement. Connu sous le terme de potentiateur de CFTR, l'ivacaftor est un médicament utilisé par voie orale conçu pour faciliter la capacité des protéines CFTR à transporter le sel et l'eau à travers la membrane cellulaire, ce qui contribue à l'hydratation et à

l'élimination du mucus des voies respiratoires. KALYDECO® (ivacaftor) a été le premier médicament à traiter la cause sous-jacente de la mucoviscidose chez les personnes présentant des mutations spécifiques du gène *CFTR*.

Pour des informations complètes sur le produit, veuillez consulter le résumé des caractéristiques du produit disponible sur www.ema.europa.eu.

À propos de Vertex

Vertex est un laboratoire de biotechnologie international qui investit dans la recherche scientifique afin de créer des médicaments innovants pour les patients atteints de maladies graves. Le laboratoire possède plusieurs médicaments approuvés qui traitent la cause sous-jacente de la mucoviscidose - une maladie génétique rare engageant le pronostic vital - et a plusieurs programmes cliniques et de recherche en cours dans la mucoviscidose. Au-delà de la mucoviscidose et grâce à sa connaissance approfondie de la biologie humaine, Vertex dispose également d'un solide portefeuille de médicaments en cours d'investigation sous la forme de petites molécules et de thérapies géniques et cellulaires pour d'autres maladies graves, notamment la drépanocytose, la bêta-thalassémie, les maladies du rein à médiation APOL1, la douleur, le diabète de type 1, le déficit en alpha-1-antitrypsine et la dystrophie musculaire de Duchenne.

Fondé en 1989 à Cambridge, dans le Massachussets, le siège social mondial de Vertex est désormais basé au sein de l'Innovation District de Boston et son siège international se trouve à Londres. En outre, la société possède des centres de recherche et de développement et des filiales opérationnelles aux États-Unis, en Europe, en Australie et en Amérique Latine. Vertex est régulièrement reconnu parmi les meilleures sociétés du secteur pour sa qualité de vie au travail. La société figure notamment depuis 13 années consécutives sur la liste des meilleurs employeurs du magazine Science et est considérée comme l'un des meilleurs employeurs dans le secteur des biotechnologies et des produits pharmaceutiques, ainsi que l'un des meilleurs employeurs pour les femmes, selon le magazine Fortune.