

Rapport succinct d'autorisation du 16.02.2026

Trikafta® (principes actifs : elexacaftor, ivacaftor, tezacaftor)

Extension d'indication en Suisse : 05.11.2025

Comprimés pelliculés pour le traitement de la mucoviscidose

À propos du médicament

Les principes actifs du médicament Trikafta sont l'elexacaftor, l'ivacaftor et le tezacaftor.

Trikafta a été autorisé par Swissmedic dès le 10 décembre 2020 pour le traitement de la mucoviscidose chez des patients âgés de 12 ans et plus qui présentent soit une mutation (anomalie) F508del sur deux chromosomes¹, soit une mutation F508del sur un chromosome et une anomalie empêchant la production d'une protéine CFTR² fonctionnelle sur le deuxième chromosome (mutation à fonction minimale).

Le 14 septembre 2021, une extension des indications de Trikafta a été autorisée pour le traitement de la mucoviscidose chez des patients âgés de 12 ans et plus qui sont porteurs d'une mutation F508del, indépendamment de la mutation sur le deuxième chromosome.

Grâce à l'autorisation d'une deuxième extension des indications le 5 janvier 2022, Trikafta peut aussi être utilisé pour le traitement de la mucoviscidose chez des patients âgés de 6 ans et plus.

La troisième extension des indications autorisée par Swissmedic le 13 juin 2024 permet désormais le traitement de la mucoviscidose chez des patients âgés de 2 ans et plus qui sont porteurs d'au moins une mutation F508del du gène CFTR.

Le 5 novembre 2025, une nouvelle extension des indications a été autorisée pour Trikafta, permettant désormais le traitement de la mucoviscidose chez des patients qui présentent d'autres mutations du gène CFTR répondant au Trikafta.

La mucoviscidose est une maladie génétique due à une carence en CFTR et/ou à un dysfonctionnement du gène CFTR. Le gène CFTR est responsable de la production (codage) d'une protéine servant au transport de l'eau et du sel. Également qualifiée de canal chlore, la protéine CFTR est située à la surface cellulaire. C'est par ce canal que le chlorure peut sortir de la cellule. Un dysfonctionnement de la protéine CFTR est notamment susceptible d'entraîner la production de mucus visqueux dans

¹ Chromosomes : situés dans le noyau des cellules, les chromosomes sont le support de l'information génétique.

² CFTR : *cystic fibrosis transmembrane conductance regulator* ou régulateur de la conductance transmembranaire de la mucoviscidose, en français.

les poumons et le pancréas, ainsi qu'une augmentation de la concentration de chlorure dans la sueur.

Différentes mutations du gène CFTR peuvent être à l'origine de la mucoviscidose. Toutefois, toutes les mutations du gène CFTR n'entraînent pas le développement d'une maladie avec des symptômes de mucoviscidose. L'anomalie la plus fréquente est l'absence de codage pour la production de la phénylalanine (mutation F508del). Environ 45 % des patients atteints de mucoviscidose présentent une telle anomalie dans leurs deux jeux de chromosomes (un chromosome touché dans

chaque jeu), ce qui se traduit par une défaillance importante du CFTR et donc une mucoviscidose sévère. Outre cette anomalie, il existe plusieurs autres mutations qui nuisent de différentes manières et dans diverses mesures au fonctionnement du CFTR.

Étant donné que la mucoviscidose est une maladie rare qui met en danger la vie des patients, l'extension des indications de Trikafta a aussi été autorisée en tant que médicament orphelin (*orphan drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

Action

Le tezacaftor et l'elexacaftor, principes actifs de Trikafta, sont des correcteurs de la protéine CFTR qui se lient à différents sites sur la protéine. Ils facilitent ainsi la production et le transport des protéines CFTR à la surface des cellules. Le principe actif ivacaftor contribue à améliorer la fonction du canal CFTR à la surface cellulaire.

L'association des trois principes actifs elexacaftor, tezacaftor et ivacaftor améliore

le fonctionnement de la protéine CFTR et en augmente la quantité à la surface cellulaire, stimulant l'activité CFTR.

Par le mécanisme d'action de ces trois principes actifs combinés, le médicament Trikafta soulage les troubles associés à la mucoviscidose.

L'anomalie génétique sous-jacente n'est en revanche pas résolue.

Administration

Trikafta est un médicament soumis à ordonnance qui contient différents comprimés pelliculés ou granulés en sachets (dose du matin et dose du soir). La dose du matin contient les principes actifs elexacaftor, ivacaftor et tezacaftor associés dans un comprimé ou sachet. La dose du soir ne contient que le principe actif ivacaftor.

La posologie est adaptée à l'âge et au poids des patients.

Pour les adultes et les enfants à partir de 6 ans, la posologie habituelle est de deux

comprimés pelliculés pour la dose du matin et d'un comprimé pelliculé pour la dose du soir. Pour les enfants de 2 à 6 ans, la posologie habituelle est d'un sachet pour la dose du matin et d'un sachet pour la dose du soir. Un intervalle d'environ 12 heures doit être respecté entre la prise de la dose du matin et celle de la dose du soir.

Les comprimés ne doivent pas être cassés, mâchés ou dissous et doivent être pris avec un repas riche en graisses.

Efficacité

L'efficacité de Trikafta pour le traitement des patients ne présentant pas de mutation F508del a été évaluée dans le cadre d'une étude clinique (étude 445-124). Cette étude portait sur 307 patients atteints de mucoviscidose. Les participants présentaient une

mutation du gène CFTR répondant au Trikafta, et la posologie a été adaptée en fonction de leur âge et de leur poids. L'étude a démontré que, par rapport au placebo, le traitement par Trikafta a entraîné une amélioration de la fonction pulmonaire et de la concentration sudorale de chlorure.

Précautions, effets indésirables et risques

Trikafta ne doit pas être utilisé en cas d'hypersensibilité à l'un des principes actifs ou à l'un des excipients.

Les effets indésirables de Trikafta les plus fréquents (concernant plus d'une personne sur dix) sont l'éruption cutanée, les infections des voies respiratoires supérieures, la congestion nasale, les maux de gorge, les maux d'estomac ou douleurs abdominales,

la diarrhée, les vertiges, les céphalées, la modification du type de bactéries présentes dans le mucus et l'augmentation des taux d'enzymes hépatiques (signe de stress hépatique).

Toutes les précautions applicables ainsi que les risques et les autres effets indésirables possibles sont énumérés dans l'information destinée aux patients (notice d'emballage) ainsi que dans l'information professionnelle.

Justification de la décision d'autorisation

Le traitement par Trikafta répond à un besoin médical important, car il offre une possibilité de traitement aux patients atteints de certaines mutations rares du gène CFTR pour lesquelles il n'existait jusqu'alors aucun traitement par modulateur de CFTR autorisé.

Les données cliniques montrent que le médicament entraîne une amélioration de la fonction pulmonaire chez les patients atteints de mucoviscidose qui présentent des mutations du gène CFTR répondant au Trikafta.

Au vu des données disponibles ainsi que des risques et des mesures de précaution à respecter, les bénéfices offerts par Trikafta sont supérieurs aux risques. Swissmedic a donc autorisé en Suisse le médicament Trikafta, dont les principes actifs sont l'elixacaftor, le tezacaftor et l'ivacaftor, pour le traitement de la mucoviscidose chez les patients âgés de 2 ans et plus qui présentent au moins une mutation F508del ou une autre mutation du gène CFTR répondant au Trikafta.

Informations complémentaires sur le médicament

Information pour les personnes exerçant une profession médicale : [information professionnelle de Trikafta®](#)

Information destinée aux patients (notice d'emballage) : [information destinée aux patients de Trikafta®](#)

Les professionnels de santé sont là pour répondre à toute autre question.

Les présentes informations sont basées sur les informations disponibles à la date de publication du SwissPAR. Les nouvelles connaissances concernant le médicament autorisé ne sont pas intégrées dans le rapport succinct d'autorisation.

Les médicaments autorisés en Suisse sont sous la surveillance de Swissmedic. Swissmedic prendra les mesures qui s'imposent en cas de constatation de nouveaux effets indésirables ou en présence d'autres signaux de sécurité. De plus, Swissmedic recensera et publiera toute nouvelle connaissance susceptible d'affecter la qualité, l'efficacité ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.