

Research and Development/Unmet Medical Need

DG PRE/R&D/UMN

Tel. : +32 (0)2 528 40 00  
Fax : +32 (0)2 524 80 01  
e-mail : [umn@fagg-afmps.be](mailto:umn@fagg-afmps.be)

Vertex Pharmaceuticals Incorporated (submitted by  
Parexel) 50 Northern Avenue MA 02210-1862  
Boston USA

Your letter from	Your reference	Our reference	Annex	Date
		FAGG/R&D/UMN	1	23/06/2022

**Onderwerp** Goedkeuring van een wijziging van een programma voor gebruik in schrijvende gevallen op 24/11/2020  
**Titre de l'objet** Approbation d'une modification d'un programme d'usage compassionnel le 24/11/2020  
**Subject** Authorisation of a modification to a compassionate use program dated 24/11/2020

Medicinal product : elexacaftor / tezacaftor / ivacaftor (tab with VX-445 100 mg/TEZ 50 mg/IVA 75 mg& tab with Ivacaftor 150 mg)

Indication : patients 12 Years of Age and Older With Cystic Fibrosis Who Are Heterozygous for F508del and a Minimal Function CFTR Mutation

Modification: update in inclusion criteria and addition of dose adjustment advice for hepatic impairment  
Ethics Committee designated: UZ Brussels

Reference: CUP-202004a

Pharmacovigilance report cut-off date: 08/05/2021

Pharmacovigilance report deadline submission: 08/06/2021

Chère Madame, Cher Monsieur,

Conformément à l'article 106 §5 de l'Arrêté Royal relatif aux médicaments à usage humain et vétérinaire comme modifié le 25 avril 2014, je confirme que l'AFMPS n'a pas d'objection à la demande de modification du programme d'usage compassionnel ci-dessus mentionné.

Sincères salutations,

Pour le Vice-Premier Ministre et Ministre de la Santé Publique et des Affaires Sociales  
Xavier DE CUYPER  
L'Administrateur général de l'AFMPS  
p.o. Hugues Malonne  
Directeur général – DG PRE

Geachte Mevrouw, Geachte Heer,

In overeenstemming met artikel 106 §5 van de Koninklijk Besluit inzake geneesmiddelen voor menselijk en diergeneeskundig gebruik als gewisseld op 25 april 2014, bevestig ik dat het FAGG geen bezwaar heeft tegen de aanvraag tot wijziging van de hierboven vermelde programma voor gebruik in schrijvende gevallen.  
Met de meeste hoogachting,

Voor de Vice-Eerste Minister en Minister van Volksgezondheid en Sociale Zaken  
Xavier DE CUYPER  
De administrateur-generaal van het FAGG  
i.o. Hugues Malonne  
Directeur-generaal – DG PRE

Unofficial translation

In accordance with article 106 §5 of the Royal Decree relative to the human and veterinary medicines as modified on 25 April 2014, I confirm that the FAMHP does not have any objection to the demand for modification to the here above mentioned compassionate use program.