

Cystic Fibrosis Research News

Efficacité du traitement par modulateurs Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor sur les symptômes nasaux dans la mucoviscidose

Auteurs:

Emily DiMango, MD^a, Jonathan Overdevest, MD, PhD^b, Claire Keating, MD^a, Sarah Fracasso Francis^a, David Dansky^a, David Gudis, MD^b

Affiliations:

^aColumbia University Irving Medical Center Department of Medicine, Pulmonary, Allergy and Critical Care

^bColumbia University Irving Medical Center Department of Oto-laryngology

Quelle était votre question de recherche ?

Le traitement par elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor améliore-t-il les symptômes sinusaux et la respiration, améliorant ainsi la qualité de vie chez les adultes atteints de Mucoviscidose ?

Pourquoi est-ce important ?

La maladie des sinus est très fréquente chez les personnes atteintes de Mucoviscidose et entraîne des plaintes importantes. À ce jour, les essais cliniques d'elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor n'ont pas évalué l'effet sur la maladie des sinus. La trithérapie par modulateurs peut avoir un impact favorable sur les symptômes de la dysfonction sinusale.

Qu'avons-nous fait ?

Nous avons mené une étude sur des adultes (18 ans et plus) atteints de Mucoviscidose pour déterminer l'effet de l'elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor sur les symptômes sinusaux. Les participants ont été évalués avant de commencer le traitement et de nouveau trois mois après le début à l'aide d'une série de questionnaires ayant une utilité approuvée. Les questionnaires ont été remplis par voie électronique via un lien Qualtrics (Qualtrics, Provo, UT).

Qu'avons-nous trouvé ?

- 43 participants ont terminé l'étude
- L'âge moyen était de 34 ans et l'IMC (Indice de masse corporelle) moyen était de 21,8
- 33% des participants avaient une double mutation F508del
- 29 étaient des femmes
- 23 participants (53%) étaient traités avec d'autres modulateurs de conductance transmembranaire (CFTR) au moment de la participation à l'étude.

- 67% des patients ont indiqué avoir subi une chirurgie de sinus dans le passé.

Tous les participants ont noté une significative amélioration des symptômes sinusaux et respiratoires. Toutes les zones des questionnaires concernant les symptômes sinusaux se sont améliorés. Les patients prenant précédemment des modulateurs de CFTR ont éprouvé une plus grande amélioration des symptômes sinusaux et respiratoires.

Qu'est-ce que cela signifie et les raisons de prudence ?

Les adultes atteints de Mucoviscidose ont une charge importante de symptômes sinusaux, qui s'améliorent après le début de la trithérapie par elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor. Ces avantages sont plus grands chez les patients prenant déjà une thérapie de modulateur de CFTR avant l'introduction de l'elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor. L'une des limites de cette étude est qu'il n'y a pas de groupe témoin : sans modulateurs CFTR, pour la comparaison.

Qu'elle est la prochaine étape?

D'autres investigations sont nécessaires pour étudier les changements par d'autres moyens, incluant l'endoscopie nasale et les résultats de la tomodensitométrie.

Citation manuscrite originale dans PubMed

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/32694034/>

Nouvelles de recherche sur la fibrose kystique

cfresearchnews@gmail.com