



Estimations mondiales de l'accès au diagnostic et au traitement de la mucoviscidose

Auteurs:

Jonathan Guo¹, Anna Garratt², Andrew Hill³

Affiliations:

¹School of Medicine, Faculty of Medicine, Imperial College London, United Kingdom

²Department of Medical Microbiology, Public Health Wales, United Kingdom

³Department of Pharmacology and Therapeutics, University of Liverpool, United Kingdom

Quelle était la question posée par votre recherche?

Combien de personnes dans le monde sont atteintes de mucoviscidose, et parmi elles, combien ont été diagnostiquées et combien reçoivent le meilleur traitement disponible ?

Pourquoi cela est-il important ?

Les idées préconçues traditionnelles sur la mucoviscidose en tant que maladie "anglo-saxonne" ont été récemment remises en question, la mucoviscidose étant de plus en plus considérée comme une maladie véritablement mondiale. Cependant, une conséquence de ces idées préconçues est que nous savons très peu de choses sur le nombre de personnes atteintes de mucoviscidose en dehors du monde occidental. Il est donc difficile de savoir où les besoins ne sont pas satisfaits.

Les récentes innovations en matière de soins de la mucoviscidose ont permis d'améliorer considérablement la vie des patients. Cependant, si nous ne pouvons pas identifier les lacunes dans l'accès au traitement au niveau mondial, les personnes atteintes de mucoviscidose dans les pays en développement risquent de ne pas pouvoir bénéficier de ces progrès.

Qu'avez-vous réalisé ?

Nous avons utilisé une combinaison de données de registres publics de patients, d'articles de recherche, de données commerciales publiées, ainsi qu'une enquête internationale auprès d'experts de la mucoviscidose et d'associations de patients afin d'estimer le nombre total de personnes atteintes de mucoviscidose dans le monde, la proportion de celles qui ont été diagnostiquées et la proportion de celles qui reçoivent le meilleur traitement disponible (actuellement une trithérapie associant trois modulateurs de CFTR). Nous avons utilisé plusieurs sources de données afin de maximiser la quantité d'informations pour les pays où il n'existe pas de registres de haute qualité.

Qu'avez-vous constaté?

Notre analyse conduit à une estimation de 162 400 personnes atteintes de mucoviscidose dans le monde, dans 94 pays différents. Parmi ces personnes, 65% (105 300) sont actuellement diagnostiquées et 12% (19 500) reçoivent une trithérapie. Dans 64 pays, aucune information n'était disponible.

Ces estimations sont plus élevées que celles actuellement citées dans la littérature scientifique sur la mucoviscidose, et de nombreuses personnes atteintes de mucoviscidose ont été identifiées dans des régions telles que le Moyen-Orient, l'Amérique du Sud et l'Europe de l'Est, où aucun modulateur de CFTR n'est disponible.

Quelle est la signification de ces résultats et quelles précautions d'interprétation sont nécessaires ?

Un nombre important de personnes est atteint de mucoviscidose dans des pays où les médicaments ayant un fort impact sur la maladie ne sont pas disponibles. Il est donc urgent d'agir pour améliorer les taux de diagnostic et de traitement de la mucoviscidose, afin qu'une plus grande proportion de patients puissent recevoir les traitements les plus efficaces.

La précision globale de nos estimations est limitée car dans les nombreux pays où aucun registre de patients n'est disponible, très peu d'informations de haute qualité ont pu être collectées, voire aucune dans plusieurs régions du monde.

Et la suite?

Un nombre important de personnes atteintes de mucoviscidose vit dans des pays où elles n'ont pas accès aux meilleurs traitements. Il est donc urgent d'agir pour qu'elles ne soient pas laissées de côté.

Des recherches supplémentaires de haute qualité sont nécessaires dans les pays en développement pour mieux appréhender le nombre exact de personnes atteintes de mucoviscidose.