

09/06/2023



**Impact de l'allègement médicamenteux chronique chez les patients atteints de mucoviscidose sous Kaftrio® (elexacaftor, tezacaftor, ivacaftor) : une étude rétrospective**

**Titre grand public :**

Impact de l'allègement des traitements symptomatiques chez les patients atteints de mucoviscidose sous Kaftrio® (Elexacaftor, Tezacaftor, Ivacaftor)

**Auteurs :**

Emma L. Guenther<sup>1</sup>, Karen S. McCoy<sup>2</sup>, Mariah Eisner<sup>3</sup>, Shasha Bai<sup>4</sup>, Christopher J. Nemastil<sup>2</sup>, Kimberly J. Novak<sup>1</sup>, Terri Johnson<sup>2</sup>, Emily M. Stephan<sup>1</sup>

**Affiliations :**

<sup>1</sup>Department of Pharmacy, Nationwide Children's Hospital, Columbus, OH

<sup>2</sup>Department of Pulmonology, Nationwide Children's Hospital, Columbus, OH

<sup>3</sup>Biostatistics Resource at Nationwide Children's Hospital, Columbus, OH

<sup>4</sup>Pediatric Biostatistics Core, Department of Pediatrics, Emory University, Atlanta, GA

**Quelle est la problématique de votre recherche ?**

L'objectif de cette étude était d'évaluer l'effet de l'allègement des traitements symptomatiques chez les patients atteints de mucoviscidose stables sous traitement par Kaftrio®. Les patients ont été inclus dans cette étude s'ils étaient âgés de 6 ans ou plus et s'ils avaient une ou deux copies de F508del.

**Pourquoi est-ce important ?**

Les personnes atteintes de mucoviscidose doivent généralement prendre plusieurs traitements symptomatiques par jour. Alors que les soins traditionnels étaient axés sur la gestion des symptômes, des modulateurs du régulateur transmembranaire de la mucoviscidose (CFTR) ont été mis au point au cours de la dernière décennie. Le modulateur CFTR le plus récent, le Kaftrio®, s'est révélé très prometteur. En raison de la nature opportune et coûteuse de ces traitements symptomatiques et de l'amélioration considérable observée avec Kaftrio®, nous nous attendions à ce que les patients souhaitent interrompre bon nombre de leurs traitements symptomatiques pour la mucoviscidose une fois qu'ils seraient sous Kaftrio®. Nous devons donc évaluer l'innocuité de l'arrêt de ces traitements.

**Quels sont les travaux réalisés ?**

Afin de collaborer avec les patients et les soignants pour éviter l'arrêt brutal du traitement, notre groupe de travail multidisciplinaire au Nationwide Children's Hospital (NCH) a mis au point un algorithme d'allègement des traitements. Le coût et la lourdeur des médicaments, ainsi que la sécurité des patients, ont été pris en compte lors de la conception de l'algorithme. Au bout d'un trimestre, si le patient est stable sous Kaftrio<sup>®</sup>, les traitements symptomatiques de la mucoviscidose peuvent être allégés sur la base de l'algorithme. Il n'était pas nécessaire de suivre l'algorithme à la lettre, car les prestataires ont impliqué les patients et les soignants dans la prise de décision partagée. Une étude rétrospective des dossiers a ensuite été menée pour évaluer l'effet de l'allègement des traitements symptomatiques de la mucoviscidose chez les patients sous Kaftrio<sup>®</sup>.

### **Quels sont les résultats ?**

Au total, 174 patients ont été inclus dans l'étude et 139 d'entre eux ont abandonné au moins un traitement symptomatique. Malgré l'allègement des traitements symptomatiques, la fonction pulmonaire a augmenté puis est restée stable du mois 1 au mois 12 après le début de Kaftrio<sup>®</sup>. La fonction pulmonaire s'est améliorée dans tous les sous-groupes, indépendamment de la fonction pulmonaire au départ, du génotype, de l'âge, de l'allègement et de l'adhésion à l'algorithme d'allègement. Au cours de cette période, les patients ont pu réduire de 50 % le nombre de traitements symptomatiques de la mucoviscidose. En outre, l'IMC a augmenté, les niveaux de chlorure de la sueur ont diminué, le pourcentage de patients ayant développé *Pseudomonas* a diminué et les admissions à l'hôpital ont diminué après le début de Kaftrio<sup>®</sup>.

### **Que cela signifie-t-il et pourquoi faut-il rester prudent ?**

L'allègement des traitements symptomatiques pour les patients stables sous Kaftrio<sup>®</sup> a eu des résultats similaires à la poursuite de ces traitements. La fonction pulmonaire a d'abord augmenté et s'est maintenue tout au long de l'étude, indépendamment des traitements symptomatiques de la mucoviscidose suivis par le patient. Cela suggère que les traitements symptomatiques de la mucoviscidose peuvent être interrompus dans le cadre d'un algorithme d'allègement tout en maintenant la stabilité pulmonaire. Cependant, l'allègement des traitements symptomatiques n'est pas possible pour tout le monde en raison des différences de fonction pulmonaire et de réponse aux médicaments.

### **Quelles sont les perspectives ?**

Bien que cette étude ait montré des résultats favorables, d'autres études sont nécessaires pour évaluer la sécurité de l'allègement des traitements symptomatiques. Une étude similaire est actuellement en cours pour déterminer si l'allègement de la solution saline hypertonique inhalée ou de la dornase alfa est sans danger.

### **Lien vers le manuscrit original sur PubMed :**

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37069044/>