



**Sécurité et efficacité en vraie vie de la trithérapie  
Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor chez les personnes atteintes de  
mucoviscidose : résultats intermédiaires d'une étude à long terme basée sur  
un registre**

**Titre grand public :**

Résultats après deux ans de suivi d'une étude toujours en cours portant sur la sécurité et l'efficacité d'elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor pris en situation réelle par des personnes atteintes de mucoviscidose.

**Auteurs :**

Julie K. Bower<sup>a,\*</sup>, Nataliya Volkova<sup>a</sup>, Neil Ahluwalia<sup>a</sup>, Gurvaneet Sahota<sup>a</sup>, Fengjuan Xuan<sup>a</sup>, Anna Chin<sup>a</sup>, Tanya G. Weinstock<sup>a</sup>, Josh Ostrenga<sup>b</sup>, Alexander Elbert<sup>b</sup>

**Affiliations :**

<sup>a</sup> Vertex Pharmaceuticals Incorporated, Boston, MA, USA

<sup>b</sup> Cystic Fibrosis Foundation, Bethesda, MD, USA

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

Nous voulions savoir quels sont les impacts du traitement par modulateur CFTR elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor sur la santé des personnes atteintes de mucoviscidose qui prennent ce traitement, en « vraie vie » plutôt que dans un contexte d'essai clinique.

**Pourquoi est-ce important ?**

Les essais cliniques portant sur l'elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor ont montré une sécurité et une efficacité globales pour traiter la cause sous-jacente de la mucoviscidose chez les personnes porteuses de certaines mutations génétiques. Cependant, il est aussi important de collecter et étudier les informations concernant les modifications sur les résultats cliniques chez les personnes atteintes de mucoviscidose qui prennent elexacaftor/tezavacaftor/ivacaftor en dehors du contexte d'un essai clinique, dans des conditions de vie réelle.

**Quels sont les travaux réalisés ?**

Nous avons suivi des personnes atteintes de mucoviscidose jusqu'à deux ans après le début de leur traitement par elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor et avons régulièrement mesuré certains résultats cliniques. Durant une période de 5 ans avant le début du traitement par elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor et jusqu'à 2 ans après, nous avons rassemblé des informations concernant leur fonction respiratoire, leur poids, la fréquence des exacerbations, la fréquence des hospitalisations, d'autres problèmes de santé diagnostiqués, et les bactéries retrouvées dans les échantillons provenant de leurs voies respiratoires. Nous avons ensuite comparé l'état de ces personnes après le début du traitement à leur état avant qu'ils aient commencé elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor. De plus, nous avons collecté des informations sur les transplantations et les décès après le début d'un traitement par elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor.

### **Quels sont les résultats ?**

Nous avons découvert que la fonction respiratoire était améliorée et les mesures de poids avaient augmenté après le début du traitement par elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor. De plus, les personnes avaient moins d'exacerbations et moins de bactéries étaient retrouvées dans leurs échantillons sous elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor par rapport à leurs échantillons avant le traitement. Les personnes étaient aussi moins fréquemment hospitalisées qu'avant le début du traitement par elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor. Ces bienfaits ont été constatés pendant toute la durée de l'étude. Les taux de décès et de transplantation pulmonaire ont baissé après le début du traitement par elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor en comparaison d'un groupe similaire de personnes atteintes de mucoviscidose qui ne prenait pas elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor durant la période juste avant la mise sur le marché d'elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor.

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

Ces observations suggèrent que lorsque les personnes atteintes de mucoviscidose et porteuses des mutations spécifiques prennent elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, les bienfaits sont similaires en vraie vie que ceux observés durant l'étude clinique et ce jusqu'au bilan des deux ans. Comme il s'agit d'une étude observationnelle, nous n'avons pu comparer nos observations dans ce groupe de personnes sous elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor avec celles provenant d'un groupe similaire de personnes qui n'auraient pas été sous elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor.

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

Cette étude va se poursuivre pendant encore 3 ans, ce qui nous permettra de collecter plus d'informations sur les impacts au long terme d'un traitement par elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor sur l'état de santé des personnes atteintes de mucoviscidose en vraie vie.

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

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/36963986/>