

21/06/2024



L'effet de l'arrêt de la solution saline hypertonique ou de la dornase alfa sur la clairance mucociliaire chez les personnes atteintes de mucoviscidose traitées par l'elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor : L'étude SIMPLIFY-MCC

Titre grand public :

Effet de l'arrêt des traitements inhalés sur la clairance du mucus sous elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor

Auteurs :

Scott H. Donaldson¹, Timothy E. Corcoran², Joseph M. Pilewski², Beth L. Laube³, Peter Mogayzel³, Agathe Ceppe¹, Jihong Wu¹, Kirby Zeman¹, Steven M. Rowe⁴, David P. Nichols⁵, Alex H. Gifford⁶, William D. Bennett¹, Nicole Mayer-Hamblett⁵, au nom des équipes SIMPLIFY MCC Study.

Affiliations :

¹ Department of Medicine and the Marsico Lung Institute, University of North Carolina at Chapel Hill, Chapel Hill, NC

² Department of Medicine, University of Pittsburgh, Pittsburgh, PA

³ Department of Pediatrics, Johns Hopkins University, Baltimore, MD

⁴ Department of Medicine and the Gregory Fleming James Cystic Fibrosis Research Center, University of Alabama at Birmingham, Birmingham, AL

⁵ Seattle Children's Research Institute, Seattle, WA and Dept of Pediatrics, University of Washington, Seattle, WA

⁶ University Hospitals Cleveland Medical Center and University Hospitals Rainbow Babies and Children's Hospital, Cleveland, OH

Quelle est la problématique de votre recherche ?

L'arrêt de la solution saline hypertonique (SH) ou de la dornase alfa (DA) entraînera-t-il une détérioration de la clairance mucociliaire chez les personnes atteintes de mucoviscidose qui prennent de l'elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) ?

Pourquoi est-ce important ?

Les personnes atteintes de mucoviscidose traitées par ETI ont souvent une meilleure fonction pulmonaire et moins de symptômes respiratoires. Dans ce contexte, la nécessité de poursuivre d'autres traitements inhalés chronophages pour préserver la santé pulmonaire est incertaine. La possibilité d'arrêter en toute sécurité les traitements par SH et/ou DA permettrait de réaliser d'importantes économies de temps et d'argent et d'améliorer la qualité de vie des patients.

Quels sont les travaux réalisés ?

L'étude secondaire SIMPLIFY-MCC a été menée dans le cadre de l'étude SIMPLIFY. Dans cette étude, les participants, âgés de plus de 12 ans et atteints de mucoviscidose, ont été choisis au hasard soit pour continuer, soit pour arrêter d'utiliser une solution saline hypertonique ou de la dornase alfa, selon ce qu'ils utilisaient avant l'essai. Les taux de clairance mucociliaire ont été mesurés à l'aide d'une technique utilisant des particules radioactives inhalées, avant l'essai et 6 semaines plus tard. La fonction pulmonaire et les symptômes pulmonaires ont également été mesurés. Dix-sept participants ont été enrôlés dans chacun des groupes SH et DA.

Quels sont les résultats ?

Les participants inscrits dans les deux groupes présentaient une maladie pulmonaire modérée au départ. Dans le groupe SH, les taux de clairance mucociliaire n'ont pas diminué après l'arrêt du traitement, et il n'y a pas eu de différence en termes de clairance du mucus, fonction pulmonaire ou symptômes pulmonaires entre les participants qui ont continué ou arrêté leur traitement. Dans le groupe DA, les taux de clairance mucociliaire se sont améliorés de manière significative après l'arrêt du traitement, alors qu'aucun changement n'a été observé chez ceux qui ont poursuivi le DA. Aucune différence n'a été observée au niveau de la fonction pulmonaire ou des symptômes pulmonaires entre ceux qui ont arrêté ou poursuivi le traitement par DA.

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

Chez les patients souffrant d'une maladie pulmonaire modérée, l'arrêt de la SH ou de la DA semble sans danger, au moins sur une période de 6 semaines, sans dégradation du taux de clairance mucociliaire, de la fonction pulmonaire ou des symptômes pulmonaires. L'amélioration de la clairance mucociliaire après l'arrêt de la DA a été une découverte surprenante. Il n'est pas certain toutefois qu'une dégradation plus importante de l'état de santé puisse se produire sur des périodes plus longues après l'arrêt de ces traitements. Les personnes souffrant de maladies pulmonaires plus graves ne peuvent pas s'attendre à obtenir les mêmes résultats et doivent donc rester prudentes.

Quelles sont les perspectives ?

Nous attendons les résultats des recherches en cours décrivant l'impact de périodes plus longues d'arrêt de traitement chez les personnes atteintes de mucoviscidose. Il est nécessaire de mener des recherches supplémentaires sur la nécessité des thérapies existantes et nouvelles chez les personnes atteintes de mucoviscidose traitées par ETI, en particulier chez celles dont la maladie est plus sévère.

Lien vers le manuscrit original sur PubMed :

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/38355350/>