

19/06/2024



## Quel est l'impact de l'interruption d'un traitement par modulateurs de CFTR chez les enfants atteints de mucoviscidose ?

**Titre grand public : Interruption d'un traitement par modulateurs chez les enfants atteints de mucoviscidose**

### **Auteurs :**

Burcu Capraz Yavuz, MD<sup>1</sup>, Ebru Yalcin, MD<sup>1</sup>, Halime Nayir Buyuksahin, MD<sup>1</sup>, Birce Sunman, MD<sup>1</sup>, Ismail Guzelkas, MD<sup>1</sup>, Didem Alboga, MD<sup>1</sup>, Meltem Akgul Erdal, MD<sup>1</sup>, Havva Ipek Demir, MD<sup>1</sup>, Raziye Atan, MD<sup>1</sup>, Nagehan Emiralioglu, MD<sup>1</sup>, Deniz Dogru, MD<sup>1</sup>, Ugur Ozcelik, MD<sup>1</sup>, Nural Kiper, MD<sup>1</sup>

### **Affiliations :**

<sup>1</sup> Department of Paediatric Pulmonology, Hacettepe University Faculty of Medicine, Ihsan Dogramaci Children's Hospital, Ankara, Türkiye

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

Afin de déterminer l'importance de continuer un traitement à base de modulateurs, nous avons essayé d'évaluer les bienfaits de ces traitements ainsi que les effets des interruptions ultérieures de cette thérapie.

### **Pourquoi est-ce important ?**

Les patients vivants dans des pays à revenus faibles et intermédiaires sont particulièrement vulnérables en raison du coût prohibitif des thérapies à base de modulateurs. Dans certains pays, la couverture sociale ne les prend pas en charge en raison de ces coûts excessifs. En Turquie, les familles dont les enfants sont éligibles aux modulateurs ont lancé des actions en justice contre le système de sécurité sociale dans le but d'accéder à ces traitements. Certaines familles sont parvenues à porter l'affaire devant les tribunaux et ont obtenu l'accès à ces thérapies. Cependant, après avoir débuté le traitement, certains patients ont subi des interruptions en raison des honoraires d'avocats et des problèmes de respect des procédures légales.

### **Quels sont les travaux réalisés ?**

Nous nous sommes intéressés à des patients atteints de mucoviscidose, âgés de moins de 18 ans, suivis au sein du service de pneumologie pédiatrique de l'Université de Hacettepe, et qui ont été traités avec des modulateurs CFTR dont l'accès a été interrompu durant la période allant d'août 2021 à octobre

2022. Nous avons comparé leur exploration fonctionnelle respiratoire, leur index de masse corporelle, leur poids, la mesure de leur qualité de vie en lien avec leur maladie et leur santé entre les périodes « avant le traitement par modulateurs », « pendant le traitement » et « après l'interruption du traitement ».

### **Quels sont les résultats ?**

Nos résultats démontrent que quand le traitement est interrompu, on observe une perte significative du bienfait thérapeutique des modulateurs, plusieurs mesures démontrant un déclin considérable. Chez de nombreuses personnes, après interruption du traitement, il y a un déclin de la fonction pulmonaire et l'indice de masse corporelle et le poids diminuent par rapport à ce qu'ils étaient avant le début du traitement par modulateurs, et les résultats sont pires chez les patients porteurs de *Pseudomonas aeruginosa* dans les voies respiratoires.

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

Les bienfaits des modulateurs sont perdus quand le traitement est interrompu, et cet effet semble survenir rapidement. Les patients atteints de mucoviscidose qui y sont éligibles devraient tous avoir un accès équivalent aux modulateurs et il faudrait mettre en place des procédures afin de garantir la continuité de l'accès à ces traitements.

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

Des mesures devraient être instaurées afin de fournir un accès équitable à ces traitements dans le monde. Heureusement, un mouvement de plaidoyer mondial pour une égalité d'accès à des traitements abordables dans le cadre de la mucoviscidose se développe.

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

<https://doi.org/10.1016/j.jcf.2024.05.006>