

BILAN 2023 DU REGISTRE FRANÇAIS DE LA MUCOVISCIDOSE DES AVANCÉES THÉRAPEUTIQUES, MAIS UNE MALADIE QUI CONTINUE DE MENACER LA VIE DE MILLIERS DE PATIENTS

Vaincre la Mucoviscidose dévoile le bilan 2023 du Registre français de la mucoviscidose, offrant un tableau contrasté. Si la trithérapie bénéficie à plus de patients et améliore considérablement l'état de santé, principalement respiratoire, de nombreux patients, des centaines de personnes malades restent exclues de ces bénéfices. Au-delà des symptômes respiratoires, les effets de la maladie stagnent voire progressent et sont particulièrement préoccupants pour les patients greffés. L'association redouble ses efforts pour faire face à ces défis.

Une extension significative de l'accès à Kaftrio en 2023

En 2023, 7 688 patients sont suivis dans les CRCM (Centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose), soit une hausse de 7,4 % par rapport à 2019.

En 2023, 66,1% des personnes malades (soit plus de 5000 patients) ont pu bénéficier de la trithérapie Kaftrio, soit une augmentation de plus de 15 points par rapport à 2022, en raison de :

- l'extension du cadre de prescription compassionnelle (CPC) à l'initiative de Vaincre la Mucoviscidose et du Centre national maladies rares - mucoviscidose, en juin 2023, pour les patients de 6 ans et plus, non porteurs de la mutation F508del ;
- l'accès précoce accordé en septembre 2023 par la Haute Autorité de santé pour les enfants de 2 à 5 ans porteurs d'au moins une mutation F508del ;
- l'accès à Kaftrio pour certains patients greffés (43 patients greffés étaient traités par Kaftrio en 2023, dont 18 porteurs d'un greffon pulmonaire).

Une amélioration de la santé respiratoire pour de nombreux, mais pas tous les patients atteints de mucoviscidose

L'introduction de Kaftrio et la prise en charge globale au sein des CRCM et des centres de transplantation permettent des améliorations continues.

- Le VEMS (volume expiratoire maximal par seconde) moyen a progressé de 7 points en cinq ans pour les enfants et de 8 points pour les adultes, atteignant respectivement 98,7% et 79,5% en 2023.
- Réduction des infections graves : le pourcentage de patients infectés par *Pseudomonas aeruginosa* est passé de 37,6 % en 2019 à 22,9 % en 2023.
- Diminution des traitements lourds (depuis 2019) : les cures antibiotiques par voie intraveineuse IV, les antibiotiques inhalés (-45 %) et l'oxygénothérapie (-60 %) sont en forte baisse .
- Le nombre de greffes a considérablement chuté, se limitant à 12 en 2023 (contre 23 en 2022), dont 8 greffes pulmonaires.

Au-delà des symptômes respiratoires, peu d'amélioration voire une dégradation persistante et préoccupante de la santé des patients notamment greffés

Le diabète (22,4%), et l'ostéoporose (18,4%) progressent tandis que la santé digestive stagne. La santé mentale, quant à elle se dégrade (10,8%).

La santé des patients greffés se fragilise sensiblement comme en témoigne une sur-prévalence de l'hypertension (41,4%), du diabète (69,9%), des cancers (8,1%), ou encore de l'insuffisance rénale (5,9%). Les patients greffés représentent 11,6% des patients mais concentrent 70 % des décès.

Une mobilisation sans précédent pour relever ces défis

Face à ces indicateurs inquiétants, l'association redouble ses efforts. Elle poursuit ses investissements dans la recherche dans le cadre de 2 consortiums qu'elle a constitué. L'un concernant le développement de nouvelles pistes thérapeutiques pour les patients porteurs de mutation rares non répondeuses à la trithérapie. L'autre afin d'identifier des solutions pour prévenir le rejet chronique du greffon. Cela représente un budget de 3 millions d'euros sur 3 ans en sus du financement annuellement consacré dans le cadre de son appel à projets scientifiques.

Enfin, en raison d'absence d'avancées thérapeutiques sur la santé digestive, Vaincre la Mucoviscidose en partenariat avec la filière Muco CFTR, lancera en 2025 les premiers Etats généraux de la santé digestive afin de mobiliser l'ensemble des acteurs.

Un appel à la mobilisation de tous les acteurs

« Ces chiffres sont une alerte. Nous ne pouvons pas nous satisfaire de progrès partiels. La recherche, l'accès aux traitements et l'organisation des soins doivent être renforcés de toute urgence. »

David FIANT, président de Vaincre la Mucoviscidose.



Le Registre va poursuivre son évolution pour favoriser les projets de recherche

Le Registre français de la mucoviscidose, outil fondamental pour comprendre l'évolution de la maladie, entre dans une nouvelle phase en se transformant en Entrepôt de données de santé. Cette innovation doit permettre d'accélérer les projets de recherche, notamment sur les mutations rares et les effets secondaires à long terme de Kaftrio.

Un avenir incertain pour des milliers de personnes malades

Avec près de 8 000 patients concernés en France, dont une majorité d'adultes désormais, la mucoviscidose reste un combat quotidien pour des milliers de familles. Vaincre la Mucoviscidose appelle à une mobilisation collective pour que chaque patient, quelle que soit sa mutation ou sa condition, ait accès à des soins et à un avenir meilleur.

ENSEMBLE, CONTINUONS A CONSTRUIRE UN AVENIR OU TOUTES LES PERSONNES MALADES POURRONT ASPIRER A UNE QUALITE DE VIE OPTIMALE.

Retrouvez les chiffres de la mucoviscidose en 2023 à travers le Focus ci-joint et l'intégralité du bilan 2023 du Registre français de la mucoviscidose via le lien ci-dessous.

https://www.vaincrelamuco.org/sites/default/files/registre_2023_bilan.pdf

A propos de Vaincre la Mucoviscidose :

Créée en 1965 par des parents de jeunes patients et des soignants, Vaincre la Mucoviscidose se consacre à l'accompagnement des personnes malades et de leur famille dans chaque aspect de leur vie bouleversée par la maladie. L'association organise son action autour de quatre missions prioritaires : guérir, soigner, améliorer la qualité de vie, et informer et sensibiliser. L'association se bat jour après jour pour trouver des nouveaux traitements afin que chaque patient puisse vivre mieux avec la maladie, se projeter dans l'avenir et guérir un jour. Défenseure acharnée des personnes malades et de leurs proches, elle milite pour faire entendre et faire reconnaître leurs droits. Vaincre la Mucoviscidose est une association reconnue d'utilité publique, labellisée par le Don en confiance et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie. En savoir plus : [vaincrelamuco.org](https://www.vaincrelamuco.org)

Contact presse :

Pierre GERARD

pgerard@vaincrelamuco.org

07 52 05 34 96

