



---

*Caractériser le poids des traitements contre la mucoviscidose afin d'identifier de nouveaux domaines prioritaires pour les essais cliniques*

---

**Auteurs :**

Gwyneth Davies<sup>1</sup>, Nicola J Rowbotham<sup>2</sup>, Sherie Smith<sup>2</sup>, Zoe C Elliot<sup>3</sup>, Katie Gathercole<sup>4,5</sup>, Oli Rayner<sup>6</sup>, Paul A Leighton<sup>7</sup>, Sophie Herbert<sup>2</sup>, Alistair JA Duff<sup>8</sup>, Suja Chandran<sup>9</sup>, Tracey Daniels<sup>10</sup>, Edward F Nash<sup>11</sup>, Alan R Smyth<sup>2</sup>

**Références:**

1. Respiratory, Critical Care and Anaesthesia Section, UCL Great Ormond Street Institute of Child Health, Londres, Royaume-Uni
2. Evidence Based Child Health Group, University of Nottingham, Nottingham, Royaume-Uni
3. Parent of Children with CF, Nottingham, Royaume-Uni
4. Université de Leeds, Leeds, Royaume-Uni
5. Person with CF, Leeds, Royaume-Uni
6. Person avec CF, Plymouth, Royaume-Uni.
7. Centre of Evidence Based Dermatology, Université de Nottingham, Nottingham, Royaume-Uni
8. Leeds Teaching Hospitals NHS Trust, Leeds, Royaume-Uni
9. Paediatric CF Service, Kings College Hospital NHS Foundation Trust, Londres, Royaume-Uni.
10. Department of Physiotherapy, York Hull Adult CF Unit, York Teaching Hospital NHS Foundation Trust, York, Royaume-Uni
11. West Midlands Adult CF Centre, University Hospitals Birmingham NHS Foundation Trust, Birmingham, Royaume-Uni

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

Nous voulions en savoir plus sur les conséquences de la lourdeur des traitements pris par les patients atteints de mucoviscidose sur leur vie et celle de leur famille dans le but de concentrer les recherches futures sur la simplification de ces traitements.

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

« Quels sont les moyens efficaces pour diminuer le fardeau des traitements chez les patients atteints de mucoviscidose ? » a été la question prioritaire de recherche de la communauté des patients lors du récent « Partenariat d'établissement des priorités de l'Association James Lind ». Nous estimions que le terme « simplifier le poids des traitements » devait être exploré plus avant, afin de nous assurer que la recherche future dans ce domaine se concentre sur les questions les plus importantes pour la communauté des patients. Cela a conduit à l'étude actuelle.

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

Nous avons mené un sondage en ligne auprès d'un groupe de patients atteints de mucoviscidose. Nous avons posé des questions sur le nombre de traitements différents pris et sur le temps que cela prend chaque jour. Il s'agissait notamment de poser des questions concernant l'impact sur la vie quotidienne, et ce qui rend les choses plus faciles ou plus difficiles. Nous avons demandé aux équipes de soignants si elles appuieraient un essai d'arrêt ou de réduction de certains traitements existants pour les personnes atteintes de mucoviscidose prenant des médicaments, des modulateurs de CFTR (p. ex. Kalydeco, Orkambi et Symkevi). Les résultats ont ensuite été résumés en sujets clés liés aux différents aspects du poids des traitements.

### **Quels sont les résultats ?**

Près de 950 personnes y ont participé. Les deux tiers étaient des personnes atteintes de mucoviscidose et leur famille et un tiers était des professionnels de santé. En moyenne, les patients effectuent dix traitements, ce qui prend deux heures par jour. La kinésithérapie (dégagement des voies respiratoires) et les aérosols d'antibiotiques sont les traitements les plus lourds. Les raisons les plus invoquées étaient le temps pris, l'aversion, l'ennui, les batailles avec les enfants, les équipements de nettoyage et l'absence de bénéfice immédiat. La difficulté à obtenir régulièrement des médicaments était également un énorme problème.

Près de 80 % des professionnels de santé estiment qu'un essai clinique visant à arrêter ou à réduire certains traitements existants pour les personnes utilisant des modulateurs de CFTR serait une bonne idée.

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

Nous avons montré que le grand nombre de traitements pris par les personnes atteintes de mucoviscidose est un lourd fardeau pour eux et leur famille. Cela signifie qu'il faudrait avoir des études cliniques ciblées sur cette thématique afin de tenter d'améliorer la prise médicamenteuse.

Comme il s'agit d'un sondage anonyme en ligne, il faut être prudent avec les résultats. Ce que rapportent les personnes n'est pas forcément la réalité. Cependant, parce que l'enquête était anonyme, les personnes pouvaient être plus honnêtes sans se soucier de ce que leur équipe de soins pourrait découvrir.

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

Ce sondage a mis en évidence l'importance de concevoir de futures études cliniques afin de commencer à répondre à la question cruciale de la lourdeur des traitements chez les patients atteints de mucoviscidose.

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

[https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/31735561-characterising-burden-of-treatment-in-cystic-fibrosis-to-identify-priority-areas-for-clinical-trials/?from\\_single\\_result=Characterising+burden+of+treatment+in+cystic+fibrosis+to+identify+priority+areas+for+clinical+trials](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/31735561-characterising-burden-of-treatment-in-cystic-fibrosis-to-identify-priority-areas-for-clinical-trials/?from_single_result=Characterising+burden+of+treatment+in+cystic+fibrosis+to+identify+priority+areas+for+clinical+trials)