

16/05/2025



Suivi à long terme des symptômes abdominaux (CFAbd-Score) après l'initiation d'Ellexacaftor / Tezacaftor / Ivacaftor chez les adultes atteints de mucoviscidose

Titre grand public :

Amélioration des troubles gastro-intestinaux après traitement à court et à long terme par Ellexacaftor / Tezacaftor / Ivacaftor (ETI)

Auteurs :

L.R., Caley¹, L., Gillgrass², C. Zagoya³, H. Saumtally², F. Duckstein³, White, H.⁴ J.G. Mainz³, D.G. Peckham^{1, 2}

Affiliations :

1. Leeds Institute of Medical Research, University of Leeds, School of Medicine, Leeds, United Kingdom;
2. The Leeds Adult CF Unit, Leeds Teaching Hospitals NHS Trust, Leeds, United Kingdom
3. Brandenburg Medical School (MHB), University Hospital, Klinikum Westbrandenburg, Brandenburg an der Havel, Germany;
4. Leeds Beckett University, Nutrition and Dietetics, Leeds, United Kingdom

Quelle est la problématique de votre recherche ?

Nous avons montré, de même que d'autres études, que les symptômes abdominaux dans leur ensemble s'améliorent sur le court terme après l'instauration du traitement par Ellexacaftor / Tezacaftor / Ivacaftor (ETI, Kaftrio). Nous voulions savoir si cette amélioration persistait à plus long terme.

Pourquoi est-ce important ?

L'anomalie sous-jacente à l'origine de la mucoviscidose, ainsi que l'utilisation de médicaments tels que les antibiotiques, ont un effet très marqué sur l'intestin, provoquant des symptômes abdominaux gênants. Les nouvelles thérapies par modulateurs, telles que Kaftrio, ciblent l'anomalie sous-jacente de la protéine et permettent souvent de réduire le recours aux antibiotiques. Étant donné que la lutte contre les troubles abdominaux a été jugée comme une priorité majeure de recherche pour les personnes atteintes de mucoviscidose, nous

voulions mieux comprendre dans quelle mesure les symptômes abdominaux s'améliorent avec l'utilisation à long terme de Kaftrio.

Quels sont les travaux réalisés ?

Nous avons étudié les symptômes abdominaux chez les adultes atteints de mucoviscidose à l'aide d'un questionnaire validé pour ces symptômes, appelé CFAbd-Score. Le système de notation prend en compte cinq aspects différents des symptômes : la douleur, le reflux gastro-œsophagien, les troubles du transit intestinal, les troubles de l'appétit et l'impact des symptômes abdominaux sur la qualité de vie. Nous avons analysé la différence entre les symptômes abdominaux avant le début du traitement par Kaftrio et après $\leq 1,5$ an (point temporel 1) et 2-4 ans de traitement (point temporel 2).

Quels sont les résultats ?

Les questionnaires successifs sur les symptômes abdominaux de 68 participants ont été analysés. Après le début du traitement par Kaftrio, les scores CFAbd se sont améliorés de manière significative aussi bien à court qu'à long terme (points temporels 1 et 2). Une amélioration significative des troubles de l'appétit et de la qualité de vie n'a été observée qu'au point temporel 1 ($\leq 1,5$ an de traitement par Kaftrio). En revanche, des améliorations significatives des troubles du transit intestinal n'ont été observées qu'après 2 à 4 ans de traitement par Kaftrio (point temporel 2). Les scores de reflux gastro-œsophagien ont été significativement plus bas aux deux points temporels après le début du traitement par Kaftrio.

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

Bien qu'il y ait eu une amélioration générale des symptômes abdominaux après le traitement par Kaftrio, il y a eu des différences dans le niveau d'amélioration en fonction de la durée du traitement. Cela peut s'expliquer par le nombre relativement faible de personnes étudiées, par la modification de la perception des symptômes au fil du temps, par l'observance thérapeutique et par des changements de régime alimentaire. Des essais de plus grande envergure sont nécessaires pour déterminer si les symptômes s'améliorent davantage avec un traitement à plus long terme.

Quelles sont les perspectives ?

Des travaux complémentaires sont nécessaires pour comprendre les causes sous-jacentes des symptômes abdominaux dans la mucoviscidose. Des recherches sont en cours pour déterminer comment le traitement par Kaftrio, le régime alimentaire et la réduction de l'exposition aux antibiotiques peuvent améliorer la fonction intestinale et l'équilibre des micro-organismes intestinaux, qui figurent parmi les potentiels facteurs principaux des troubles gastro-intestinaux.

Lien vers le manuscrit original sur PubMed :

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/39814671/>