

13/06/2025



Une concentration élevée de Kaftrio est-elle associée à la survenue d'évènements indésirables chez les personnes vivant avec la mucoviscidose ? : Une étude de cas

Titre grand public :

Les personnes atteintes de mucoviscidose présentent-elles des effets secondaires de Kaftrio en raison de concentrations élevées du médicament ?

Auteurs :

Syendon B C Baromeo¹, Renske van der Meer², Richard C J M van Rossen³, Erik B Wilms³

Affiliations :

1. Department of Pharmacy, Haga Hospital, Els Borst-Eilersplein 275, 2545 AA The Hague, The Netherlands.
2. Department of Pulmonology and Adult CF Centre, Haga Hospital, Els Borst-Eilersplein 275, 2545 AA The Hague, The Netherlands.
3. Central Hospital Pharmacy (Laboratory AHZ), Charlotte Jacobslaan 70, 2545 AB The Hague, The Netherlands.

Quelle est la problématique de votre recherche ?

Le but de notre étude est de rechercher si les personnes ayant des effets secondaires présentaient une concentration plus élevée d'elixacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI ou Kaftrio) dans leur sang et si la diminution des doses de Kaftrio pouvait minimiser ces effets secondaires tout maintenant l'efficacité du traitement.

Pourquoi est-ce important ?

Pendant longtemps, l'espérance de vie des personnes atteintes de mucoviscidose était réduite du fait d'options thérapeutiques limitées. Ces dernières années, des avancées majeures ont été réalisées, notamment avec le développement des modulateurs de CFTR comme Kaftrio. Ce traitement a permis d'améliorer la fonction pulmonaire de nombreux patients, en réduisant les symptômes et en améliorant leur qualité de vie. Bien que Kaftrio soit efficace

chez la plupart des personnes, certains adultes ressentent des effets secondaires qui nécessitent de réduire leur dose voire même d'arrêter le traitement.

Quels sont les travaux réalisés ?

Nous avons suivi 10 patients qui présentaient des effets secondaires et dont la dose de Kaftrio a été diminuée. Nous avons mesuré la concentration de Kaftrio dans leur sang et suivi l'efficacité du traitement en mesurant les taux de chlorures dans la sueur (test à la sueur) lors de visites hospitalières de routine. Nous avons également répertorié le type et la gravité de ces effets secondaires.

Quels sont les résultats ?

Lors du traitement par une dose normale de Kaftrio, les dosages du médicament dans le sang des patients étaient plus élevés que ceux observés lors d'études précédentes. Les effets secondaires les plus retrouvés étaient associés à des troubles du système nerveux et des problèmes de santé mentale. Les effets secondaires se sont améliorés en diminuant la dose du médicament. Les niveaux de chlorure dans la sueur ont légèrement augmenté après la diminution de la dose de Kaftrio. Cependant le traitement semblait toujours efficace à court terme.

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

Cette étude suggère que les concentrations élevées d'ETI dans le sang pourraient être reliées à l'apparition d'effets secondaires. La diminution des doses semble réduire ces effets secondaires tout en préservant l'efficacité du traitement à court terme.

Quelles sont les perspectives ?

L'optimisation des stratégies de réduction de dose pourraient faire l'objet de futures études tout en évaluant la sécurité et l'efficacité à long terme de Kaftrio au sein de groupes plus importants de patients.

Lien vers le manuscrit original sur PubMed :

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/40069050/>