

11/07/2025



## **Suivi des effets de Kaftrio chez un nourrisson traité *in utero*, par lait maternel et par granulés pendant 1,7 an à l'aide de dosages répétés d'élastase fécale**

### **Titre grand public :**

Suivi des effets de Kaftrio sur le pancréas d'un nourrisson pendant 1,7 an à l'aide de tests de selles

### **Auteurs :**

Dorothea Appelt<sup>1</sup>, Teresa Fuchs<sup>1</sup>, Johannes Eder<sup>1</sup>, Katharina Niedermayr<sup>1</sup>, Anja Siedl<sup>1</sup>, Helmut Ellemunter<sup>2</sup>

### **Affiliations :**

1. Department of Paediatrics III, Cystic Fibrosis Centre Innsbruck, Medical University of Innsbruck, Austria
2. Medical University of Innsbruck, Austria, Medical Research Affiliate, Austria

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

L'exposition continue à l'Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor (ETI ou Kaftrio) avant et après la naissance peut-elle contribuer à préserver la fonction pancréatique chez les enfants atteints de mucoviscidose ?

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

L'insuffisance pancréatique est un problème courant et grave dans la mucoviscidose, souvent traitée par un traitement substitutif enzymatique pancréatique (PERT). Malgré les nouveaux traitements de la mucoviscidose comme Kaftrio, les patients ont toujours besoin d'une thérapie enzymatique de substitution. Comprendre si l'exposition à Kaftrio dès avant la naissance peut préserver la fonction pancréatique pourrait réduire ce besoin et améliorer la qualité de vie des patients.

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

Nous avons suivi la fonction pancréatique d'un garçon de 1,7 an atteint de mucoviscidose et exposé à Kaftrio *in utero* puis via l'allaitement maternel. Sa fonction pancréatique a été

surveillée à l'aide d'un test d'élastase dans les selles. Nous avons donc évalué les effets d'une exposition continue à Kaftrio sur sa santé pancréatique.

### **Quels sont les résultats ?**

La fonction pancréatique du nourrisson était initialement normale à la naissance. Au fil du temps, malgré des fluctuations, il a conservé une fonction pancréatique suffisante durant l'allaitement, qui lui permettait l'administration continue de Kaftrio. À l'âge de 8 mois, en raison de l'aggravation de sa fonction pancréatique, il a dû prendre des enzymes pancréatiques sous formes de comprimés écrasés. Par la suite son taux d'élastase fécale a augmenté, ce qui a permis d'arrêter le PERT à 12 mois.

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

Ce cas suggère que l'exposition à Kaftrio avant et après la naissance pourrait contribuer à préserver la fonction pancréatique dans la mucoviscidose. Cependant, il s'agit d'un cas unique et les résultats peuvent ne pas être généralisables. D'autres études sont nécessaires pour comprendre l'impact à long terme et la sécurité de l'exposition à Kaftrio sur la santé du pancréas chez les jeunes enfants atteints de mucoviscidose.

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

D'autres recherches sont nécessaires pour confirmer ces résultats dans un groupe plus important de patients et explorer les effets à long terme de l'exposition à Kaftrio sur la fonction pancréatique dans la mucoviscidose.

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

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/39880765/>