

09/01/2026



Prise de décision thérapeutique concernant l'utilisation de modulateurs de CFTR chez les patients atteints de mucoviscidose

Titre grand public : Comment les médecins décident-ils de prescrire des modulateurs de CFTR à leurs patients ?

Auteurs :

Alison Carr¹, Carlos Carneiro², Michael Griffin², Mark Higgins², Heike Wöhling², Fiona Hammond¹, Donatello Salvatore³, Barry J. Plant⁴, J. Stuart Elborn⁵

Affiliations :

1. Hamell, London, UK
2. Vertex Pharmaceuticals Incorporated, Boston, MA, USA
3. Ospedale San Carlo, Potenza, Italy
4. Cork University Hospital, University College Cork, Cork, Ireland
5. Queen's University, Belfast, UK

Quelle est la problématique de votre recherche ?

Cinq modulateurs de CFTR sont aujourd'hui autorisés sur le marché européen. Malgré la tolérance et les avantages cliniques avérés de ces traitements, la manière dont ils sont prescrits par les médecins spécialistes de la mucoviscidose reste variable. Nous avons donc cherché à comprendre les facteurs pris en compte par les médecins lors de la prescription des modulateurs de CFTR à leurs patients.

Pourquoi est-ce important ?

Le développement et l'autorisation des traitements par modulateurs de CFTR ont changé la prise en charge de la mucoviscidose. Les modulateurs de CFTR traitent la cause sous-jacente de la mucoviscidose, améliorant ainsi la fonction pulmonaire et certains symptômes de la maladie. Cependant, il est important de comprendre comment les médecins prennent la décision de prescrire un modulateur de CFTR spécifique à un patient donné.

Quels sont les travaux réalisés ?

Nous avons élaboré 20 profils différents de patients fictifs, atteints de mucoviscidose différents (appelés cas cliniques), décrivant dix patients pédiatriques et dix patients adultes tous éligibles aux modulateurs de CFTR. Ces cas cliniques comprenaient toutes les informations importantes pour la prescription d'un modulateur, telles que le génotype du patient, son état de santé, son âge, son état de suffisance pancréatique et tout traitement en cours. Quatre-vingts médecins spécialistes de la mucoviscidose (en pédiatrie comme chez les adultes), venant de cinq pays européens (Allemagne, Hollande, Italie, Irlande et Royaume-Uni), ont répondu à un exercice de décision thérapeutique en ligne pour lequel ils devaient indiquer le traitement décidé pour chaque profil patient et les raisons de cette décision.

Quels sont les résultats ?

Les prescriptions de modulateurs de CFTR par les médecins variaient même en présence du même profil patient. Cette variabilité s'expliquait bien plus par les spécificités des médecins telles que leurs comportements, attitudes et précédentes expériences que par des facteurs spécifiques propres à la maladie. Les médecins qui se décrivaient comme étant proactifs et enclins à repousser les limites ou qui avaient précédemment prescrit un modulateur de CFTR s'avéraient plus susceptibles de prescrire un modulateur de CFTR. Nous avons observé que la probabilité d'une prescription de modulateurs de CFTR baissait pour les profils de patients âgés de douze ans ou moins et ceux étant suffisants pancréatiques. Parmi les quatre modulateurs disponibles au moment de cette étude, Kaftrio (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor) était la thérapie la plus prescrite sans pour autant constituer un choix universel parmi les médecins interrogés.

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

Nos résultats confirment une variabilité dans la prise de décision thérapeutique des médecins quant à la prescription ou non d'un modulateur de CFTR, principalement en raison de spécificités comportementales et de confiance basée sur leur expérience antérieure. Les médecins doivent donc se constituer une connaissance la plus exhaustive possible sur l'utilisation, la sécurité et l'efficacité des modulateurs de CFTR afin de pouvoir prendre des décisions éclairées lorsqu'ils envisagent de prescrire un modulateur de CFTR à leurs patients atteints de mucoviscidose.

Quelles sont les perspectives ?

L'utilisation des modulateurs de CFTR continue à se développer et davantage de données cliniques concrètes apparaissent. Nous assisterons donc probablement à de nouveaux changements dans les pratiques de prescription des médecins. La même approche pourrait s'avérer utile pour de futures études visant à comprendre comment les schémas de prescription des modulateurs de CFTR évoluent au fil du temps. Cette approche pourrait même être appliquée à des traitements pour d'autres pathologies.

Lien vers le manuscrit original sur PubMed :

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/40713199/>