

06/02/2026



Récupération et fluctuation de la fonction pancréatique en vie réelle chez de jeunes enfants atteints de mucoviscidose traités par Kaftrio

Titre grand public :

Le traitement par Kaftrio peut-il aider le pancréas à mieux fonctionner chez les jeunes enfants atteints de mucoviscidose ?

Auteurs :

Laura Schembri^{1,2}, Delyth Jones¹, Siân Bentley^{1,2}, Siobhán Carr^{1,2}, Ian Balfour-Lynn¹

Affiliations :

1. Royal Brompton Hospital, London, UK
2. National Heart and Lung Institute, Imperial College, London, UK

Quelle est la problématique de votre recherche ?

Chez des enfants atteints de mucoviscidose âgés de 2 à 6 ans :

1. Le traitement par Kaftrio améliore-t-il la fonction pancréatique, mesurée par le dosage d'élastase fécale-1 ?
2. Kaftrio modifie-t-il les taux des vitamines A, D et E ?
3. Les améliorations des valeurs d'élastase fécale-1 sont-elles associées au taux de chlorure sudoral qui est évalué par le test de la sueur, un examen mesurant la teneur en sel de la sueur, indicateur de l'efficacité de Kaftrio ?

Pourquoi est-ce important ?

Dans la mucoviscidose, le pancréas cesse souvent de fonctionner correctement, ce qui empêche une digestion normale. Les enfants doivent alors prendre des gélules d'enzymes digestives à chaque repas et des suppléments vitaminiques.

Si la fonction pancréatique s'améliore Les enfants pourraient avoir besoin de moins d'enzymes, voire plus du tout. Des études antérieures chez des enfants plus âgés suggéraient un effet bénéfique à l'aide de Kaftrio, mais il n'était pas clair à quelle fréquence cette récupération survenait en vraie vie, ni si elle persistait dans le temps.

De plus, une fonction pancréatique améliorée permettrait également aux enfants d'absorber plus de vitamines A, D et E à partir des aliments. Associée à la poursuite de la prise de compléments vitaminiques, cela pourrait entraîner des taux sanguins de vitamines trop élevés, avec un risque d'effets indésirables.

Les tests de la sueur pourraient aider à évaluer, chez chaque enfant, l'impact de Kaftrio sur la fonction pancréatique.

Quels sont les travaux réalisés ?

Nous avons étudié des enfants atteints de mucoviscidose, âgés de 2 à 6 ans, ayant débuté le traitement par Kaftrio dans notre centre spécialisé de Londres.

Avant la prise de Kaftrio, les données suivantes ont été recueillies à partir des dossiers médicaux :

- Les dosages d'élastase fécale-1 ;
- Les taux sanguins des vitamines.

Après le début du traitement par Kaftrio, nous avons réalisé :

- Un examen de selles pour évaluer la fonction pancréatique (par dosage d'élastase fécale-1) à 6 et 12 mois ;
- Une prise de sang pour mesurer les taux des vitamines A, D et E à 3 et 12 mois ;
- Un test de la sueur à 6 mois.

Quels sont les résultats ?

Cinquante-et-un enfants ont été inclus dans l'étude. Environ un enfant sur quatre dont le pancréas ne fonctionnait pas initialement a montré une récupération de la fonction pancréatique après 6 mois de traitement par Kaftrio.

Chez trois de ces enfants, cette amélioration a disparu à 12 mois.

Les enfants présentant la plus forte amélioration de la fonction pancréatique avaient tendance à avoir des taux plus bas de chlorure sudoral, suggérant une meilleure réponse pancréatique au traitement.

Certains enfants ont pu réduire leur dose d'enzymes digestives, et un enfant a pu les arrêter. Les taux de vitamine D ont augmenté significativement après 3 mois chez les enfants traités. Aucun changement significatif n'a été observé pour les vitamines A et E, et aucun taux vitaminique excessif n'a été détecté.

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

Ces résultats suggèrent que Kaftrio peut permettre une récupération de la fonction pancréatique chez certains jeunes enfants atteints de mucoviscidose, et que le test de la sueur pourrait aider à identifier ceux qui en ont les meilleurs bénéfices.

Cependant, cette récupération n'est pas toujours durable et les enzymes digestives ne doivent jamais être arrêtées sans un suivi médical étroit. Le dosage de l'élastase fécale-1 n'est pas suffisamment sensible pour détecter de légères améliorations, les équipes médicales doivent donc tenir également compte des symptômes cliniques, de la croissance et de l'état nutritionnel des jeunes enfants.

Il s'agit d'une étude monocentrique avec un effectif limité, ce qui limite la généralisation des résultats. Un suivi à long terme est nécessaire pour mieux comprendre la stabilité de la récupération pancréatique et son lien avec le chlorure sudoral.

Quelles sont les perspectives ?

Des études plus larges et de plus longue durée sont nécessaires pour :

- Confirmer la durabilité de la récupération pancréatique sous Kaftrio ;
- Mieux comprendre le rôle prédictif du test de la sueur ;
- Évaluer les conséquences cliniques de la réduction ou de l'arrêt de la prise d'enzymes digestives.

Ces données permettront d'améliorer la sécurité des soins et la précision du suivi nutritionnel et pancréatique chez les enfants atteints de mucoviscidose.

Lien vers le manuscrit original sur PubMed :

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/40962626/>