

19/06/2026



La santé osseuse après trois ans de traitement par Kaftrio : une étude en vie réelle menée auprès de la cohorte danoise de patients atteints de mucoviscidose

Titre grand public :

Le traitement contre la mucoviscidose Kaftrio, préserve-t-il la santé osseuse ? Résultats d'une étude danoise menée sur trois ans

Auteurs :

Esben Herborg Henriksen^{1,2}, Bibi Uhre Nielsen¹, Camilla Bjørn Jensen³, Thomas Bryrup¹, Christine Højte Dahl¹, Karlen Bader-Larsen¹, Christian Leo-Hansen¹, Mette Frahm Olsen^{1,4}, Majbritt Jeppesen⁵, Peter Oturai⁶, Peter Schwarz⁷, Bente Langdahl⁸, Thomas Almdal⁷, Daniel Faurholt-Jepsen^{1,9}, Inger Hee Mabuza Mathiesen¹, and the TransformCF Study Group

TransformCF Study Group:

Hans Kristian Råket Pedersen, Maria Hein Hegelund, Marianne Skov, Søren Jensen-Fangel, Tacjana Pressler, Tavs Qvist, Terese Katzenstein.

Affiliations :

1. Department of Infectious Diseases, Cystic Fibrosis Center Copenhagen University Hospital - Rigshospitalet, Copenhagen, Denmark
2. Department of Pediatrics and Adolescent Medicine, Copenhagen University Hospital - Rigshospitalet, Copenhagen, Denmark
3. Copenhagen Phase IV Unit, Department of Clinical Pharmacology and Center for Clinical Research and Prevention, University Hospital of Copenhagen – Bispebjerg and Frederiksberg, DK
4. Department of Nutrition, Exercise and Sports, University of Copenhagen, Copenhagen, Denmark
5. Department of Infectious Diseases, Aarhus University Hospital, Aarhus, Denmark
6. Department of Clinical Physiology and Nuclear Medicine, Copenhagen University Hospital - Rigshospitalet, Copenhagen, Denmark

7. Department of Endocrinology, Copenhagen University Hospital - Rigshospitalet, Copenhagen, Denmark
8. Dept of Endocrinology and Internal Medicine, Aarhus University Hospital and Dept of Clinical Medicine, Aarhus University, Aarhus, Denmark
9. Department of Clinical Medicine, Copenhagen University Hospital - Rigshospitalet, Copenhagen, Denmark

Quelle est la problématique de votre recherche ?

Les personnes atteintes de mucoviscidose présentent un risque accru de développer une fragilité osseuse. Le nouveau traitement contre la mucoviscidose, l'ETI (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor ou Kaftrio), améliore de nombreux facteurs qui influent sur la santé osseuse. Mais améliore-t-il réellement la santé osseuse à long terme ? Pour le savoir, nous avons suivi des adultes danois atteints de mucoviscidose pendant trois ans.

Pourquoi est-ce important ?

Les troubles osseux liés à la mucoviscidose constituent un problème grave et souvent sous-estimé dans cette maladie. Les personnes atteintes de mucoviscidose présentent un risque de fractures nettement plus élevé que la population générale, notamment de fractures vertébrales et costales, qui peuvent aggraver les troubles respiratoires et réduire considérablement la qualité de vie. Étant donné que l'espérance de vie des personnes atteintes de mucoviscidose s'est allongée, en grande partie grâce à des traitements tels que Kaftrio, on s'attend à ce que les troubles osseux deviennent un problème de plus en plus courant. Nous savons déjà que Kaftrio améliore la nutrition, réduit l'inflammation et favorise l'activité physique, autant de facteurs qui contribuent à la santé osseuse. Il est donc essentiel, tant pour les patients que pour leurs équipes soignantes, de déterminer si Kaftrio se traduit également, à long terme, par un renforcement des os.

Quels sont les travaux réalisés ?

Nous avons étudié 197 adultes danois atteints de mucoviscidose, en utilisant des examens spécialisés de mesure de la densité osseuse (appelés examens DXA) pour évaluer la solidité osseuse à trois endroits pertinents pour l'évaluation du risque de fractures. Nous avons recueilli des mesures à partir de deux ans avant le début du traitement par Kaftrio jusqu'à trois ans et demi après. Nous avons également mesuré les taux sanguins de vitamine D, de calcium et d'hormone parathyroïdienne, des substances qui reflètent la manière dont l'organisme gère la santé osseuse. Les mesures ont été comparées entre les différents temps d'observation afin de suivre les éventuelles évolutions après le début du traitement par Kaftrio.

Quels sont les résultats ?

Dans l'ensemble, la densité osseuse est restée globalement stable tout au long des trois années de traitement par Kaftrio. De légères variations ont été observées à certains des

endroits analysés, mais aucune n'a été jugée cliniquement significative. Les taux sanguins de vitamine D se sont améliorés après deux et trois ans de traitement par Kaftrio, ce qui constitue un signe positif pour le métabolisme osseux. Les taux de calcium et d'hormone parathyroïdienne sont restés inchangés. Les résultats se sont révélés cohérents dans tous les sous-groupes, qu'il s'agisse des hommes ou des femmes, des différentes tranches d'âge ou des personnes présentant déjà une densité osseuse plus faible avant le début du traitement par Kaftrio.

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

Nous nous attendions à ce que Kaftrio améliore la densité osseuse, mais cela ne s'est pas clairement vérifié. Cependant, le maintien de la densité osseuse sur trois ans constitue en soi un résultat encourageant. On observe généralement que les adultes atteints de mucoviscidose perdent progressivement de la masse osseuse au fil du temps ; l'absence de déclin pourrait donc indiquer que Kaftrio a un effet protecteur, ralentissant ou stoppant ce processus. Cette étude présente certaines limites : il s'agit d'une étude observationnelle, ce qui signifie que nous ne pouvons exclure d'autres explications ; de plus, le nombre de patients ayant fourni des données à trois ans était plus faible, ce qui implique que ces résultats doivent être interprétés avec prudence. Par ailleurs, nos patients présentaient une densité osseuse relativement normale au début de l'étude, ce qui a pu rendre les améliorations plus difficiles à détecter.

Quelles sont les perspectives ?

Des études de suivi à plus long terme sont nécessaires pour déterminer si Kaftrio protège réellement contre la perte osseuse au fil du temps. Une attention particulière doit être accordée aux femmes atteintes de mucoviscidose, car on s'attend désormais à ce qu'un plus grand nombre d'entre elles atteignent la ménopause, une période marquée par une accélération de la perte osseuse, alors qu'elles présentent déjà une fragilité osseuse préexistante. La surveillance de la santé osseuse reste essentielle chez les personnes atteintes de mucoviscidose.

Lien vers le manuscrit original sur PubMed :

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/41714236/>