

11/09/2026



Espoirs thérapeutiques dans les pancréatites récidivantes liées à CFTR : une série de cas

Titre grand public :

Espoirs thérapeutiques dans les pancréatites liées à CFTR

Auteurs :

Sophie Gohy MD, PhD^{1,2,3,4}, Anaïs Le MD⁵, Isabelle Sermet-Gaudelus MD, PhD⁵, Elke De Wachter MD PhD⁶, Angélique Lhomme MD⁷, François Vermeulen MD, PhD^{8,9}, Isabelle Scheers MD, PhD^{2,10,11}

Affiliations :

¹ Pneumology department, Cliniques universitaires Saint-Luc, Brussels, Belgium;

² Cystic fibrosis reference center, Cliniques universitaires Saint-Luc, Brussels, Belgium;

³ European Reference Network-Respiratory Diseases (ERN-LUNG);

⁴ Pole of Pneumology, ENT and Dermatology (LUNS), Université catholique de Louvain (UCLouvain), Brussels, Belgium;

⁵ INSERM U1151, Université Paris Cité, Centre de Références Maladies Rares Mucoviscidose et Maladies Apparentées, Hôpital Necker Enfants Malades, Paris, France;

⁶ Department of Pediatrics, Cystic fibrosis reference center, UZ Brussel, Brussels, Belgium;

⁷ Department of Pediatrics, Cystic fibrosis reference center, CHR/CHU Liège, Liège, Belgium;

⁸ Cystic fibrosis reference center, Woman and Child Unit, Department of Development and Regeneration, KU Leuven, Leuven, Belgium;

⁹ Department of Pediatrics, Pediatric Pulmonology, UZ Leuven, Leuven, Belgium;

¹⁰ Department of Pediatric Gastroenterology and Hepatology, Cliniques universitaires Saint-Luc, Université catholique de Louvain (UCLouvain), Brussels, Belgium;

¹¹ European Reference Network for rare Inherited and Congenital (digestive and gastrointestinal) Anomalies (ERNICA).

Quelle est la problématique de votre recherche ?

Nous avons cherché à déterminer si les modulateurs de CFTR (comme l'Ivacaftor ou l'association Elexacaftor–Tezacaftor–Ivacaftor) pouvaient réduire les épisodes répétés de

pancréatite chez des patients présentant une affection liée à CFTR (*CFTR-related disorder*), c'est-à-dire une altération partielle du fonctionnement de CFTR sans pour autant répondre aux critères diagnostiques de la mucoviscidose.

Pourquoi est-ce important ?

La pancréatite est une inflammation du pancréas douloureuse, invalidante et parfois dangereuse. Certaines personnes présentent des épisodes répétés sans qu'une cause claire puisse être identifiée.

Chez certains patients, le problème pourrait être lié à un dysfonctionnement modéré de la protéine CFTR, même en l'absence de mucoviscidose classique. Ces patients sont souvent difficiles à diagnostiquer et les possibilités thérapeutiques sont limitées.

À l'heure actuelle, la prise en charge est principalement symptomatique et ne permet pas de prévenir la survenue de nouveaux épisodes.

Si les modulateurs de CFTR permettent de réduire la fréquence des pancréatites, ils pourraient constituer un traitement ciblé, améliorer la qualité de vie, diminuer les hospitalisations et éventuellement prévenir les lésions pancréatiques à long terme, notamment l'insuffisance pancréatique exocrine (troubles de la digestion) et le diabète.

Quels sont les travaux réalisés ?

Nous avons décrit quatre patients présentant des pancréatites récidivantes et des signes de dysfonctionnement de CFTR, mais ne présentant pas de mucoviscidose.

Chaque patient a bénéficié d'analyses génétiques et de tests fonctionnels spécialisés permettant d'évaluer l'activité de CFTR.

Après une évaluation approfondie, les patients ont été traités par des modulateurs du CFTR : Ivacaftor ou Elexacaftor–Tezacaftor–Ivacaftor.

Nous les avons ensuite suivis dans le temps afin d'observer le nombre de nouveaux épisodes de pancréatite et de réévaluer la fonction de CFTR à l'aide d'examens biologiques.

Nous avons comparé leur état avant et après l'instauration du traitement afin de déterminer si celui-ci modifiait l'évolution de leur maladie.

Quels sont les résultats ?

Après l'instauration des modulateurs de CFTR, les quatre patients ont présenté une diminution importante du nombre d'épisodes de pancréatite.

Chez trois patients, aucun nouvel épisode confirmé de pancréatite n'est survenu au cours d'un suivi prolongé, allant jusqu'à plusieurs années.

Chez le quatrième patient, les épisodes ont été moins nombreux qu'avant le traitement.

Les examens biologiques ont également montré une amélioration de la fonction de CFTR.

Point important : aucun effet indésirable grave n'a été rapporté.

L'amélioration est apparue rapidement après le début du traitement et s'est maintenue dans le temps.

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

Nos résultats suggèrent que les modulateurs de CFTR pourraient contribuer à prévenir les pancréatites récidivantes chez certains patients présentant un dysfonctionnement de CFTR, même en l'absence de mucoviscidose.

Cependant, cette étude ne portait que sur quatre patients et ne comportait aucun groupe témoin. La durée du suivi était également différente selon les patients.

Comme la fréquence des épisodes de pancréatite peut naturellement varier au cours du temps, nous ne pouvons pas affirmer avec certitude que l'amélioration observée est uniquement due au traitement.

Des essais cliniques contrôlés portant sur un plus grand nombre de patients sont donc nécessaires.

Par ailleurs, ces médicaments sont coûteux et ne disposent actuellement d'aucune autorisation officielle pour cette indication spécifique.

Quelles sont les perspectives ?

La prochaine étape consiste à réaliser des essais cliniques prospectifs de plus grande ampleur afin de déterminer si les modulateurs de CFTR préviennent réellement les pancréatites récidivantes chez les patients atteints d'affections liées à CFTR.

Il est également nécessaire de faciliter l'accès à ces médicaments dans le cadre de la recherche afin de pouvoir évaluer correctement leurs bénéfices dans cette population.

Lien vers le manuscrit original sur PubMed :

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/41735157/>