

20/09/2019



**Les essais cliniques actuels sur la mucoviscidose sont-ils en adéquation avec
les priorités exprimées par les patients et les cliniciens ?
Une revue systématique**

Auteurs :

Kalaitzis IK¹, Rowbotham NJ¹, Smith SJ¹, Smyth AR¹

Affiliation :

¹Evidence based Child Health Group, University of Nottingham, UK

Quelle est la problématique de votre recherche ?

Les essais cliniques actuels reflètent-ils les priorités en matière de recherche telles qu'exprimées par la communauté de patients et de proches concernés par la mucoviscidose ?

Pourquoi est-ce important ?

Récemment, la James Lind Alliance¹ a réalisé une enquête pour établir une liste des priorités de recherche sur la mucoviscidose (connu sur Twitter sous le nom @questionCF). Des personnes atteintes de mucoviscidose, leurs proches, leurs amis et les professionnels de santé ont été consultés afin d'identifier dix priorités majeures en matière de recherche sur la mucoviscidose.

Ces dix priorités majeures étaient les suivantes :

1. Quels sont les moyens efficaces pour alléger le fardeau que représente le traitement de la mucoviscidose ?
2. Quels traitements seraient susceptibles de soulager les symptômes gastro-intestinaux tels que les douleurs abdominales, les ballonnements et les nausées ?

¹ organisation britannique à but non lucratif, reliée au National Institut for Health Research (NIHR, équivalent britannique de l'Inserm).

3. Quel est le traitement le plus approprié des infections au *Myctobacterium* non tuberculeux (à quelle date débiter le traitement et avec quel médicament) ?
4. Quelles sont les thérapies efficaces pour retarder ou prévenir l'atteinte pulmonaire chez les jeunes patients ?
5. Y a-t-il moyen de prévenir le diabète lié à la mucoviscidose ?
6. De quels leviers disposons-nous, en termes de motivation, de soutien humain et de moyens techniques, pour aider les personnes atteintes de mucoviscidose à renforcer et à pérenniser leur adhésion au traitement ?
7. L'exercice physique peut-il remplacer la kinésithérapie respiratoire ?
8. Quels sont les combinaisons et les dosages d'antibiotiques à utiliser en cas d'exacerbation pulmonaire, et faut-il alterner les combinaisons d'antibiotiques ?
9. Est-il possible de réduire les conséquences néfastes des antibiotiques, à savoir le risque de développement de résistance des bactéries et les effets indésirables chez les patients ?
10. Quelle est la meilleure façon d'éradiquer *Pseudomonas aeruginosa* ?

Nous avons voulu savoir jusqu'à quel point les essais cliniques en cours était en accord avec les souhaits de la communauté concernée par la mucoviscidose. Nous espérons, en sensibilisant à ces dix priorités majeures, nourrir et orienter les recherches futures, et ce dans les domaines qui comptent le plus pour cette communauté.

Quels sont les travaux réalisés ?

Nous avons exploré toutes les bases de données d'essais cliniques et de publications médicales disponibles en ligne, afin de repérer les essais cliniques en cours sur la mucoviscidose. Nous avons inclus tous les essais répertoriés ou publiés entre le 1^{er} janvier 2016 et le 11 septembre 2017. Nous avons ensuite évalué l'adéquation de ces essais avec un (ou plusieurs) des dix domaines de recherche prioritaires.

Quels sont les résultats ?

Nous avons décompté 259 essais, dont 193 répondant aux critères d'inclusion ci-dessus. Seulement 63 d'entre eux (33%) relevaient d'un (ou plusieurs) des domaines correspondant aux 10 priorités.

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

Cela indique que les essais cliniques en cours répondent mal aux 10 priorités de recherche définies par la communauté. Cette étude couvre la période durant laquelle l'enquête sur les priorités était

menée par la James Lind Alliance ; elle n'implique donc pas que les priorités de la communauté ont été ignorées, mais simplement qu'il n'y avait pas concordance pendant cette période.

Quelles sont les perspectives ?

Nous espérons qu'en sensibilisant aux dix priorités majeures, cela infléchira et nourrira les recherches futures dans des domaines qui sont importants pour la communauté. Nous espérons trouver un bien meilleur pourcentage de concordance quand nous referons cette évaluation d'ici cinq ans.

Lien vers le site de l'ECFS:

<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/?term=Do+current+clinical+trials+in+cystic+fibrosis+match+the+priorities+of+patients+and+clinicians%3F+A+systematic+review>