

Dans le cadre de l'Appel à projets 2020, le Comité Stratégique pour la Recherche (CSR) recommande la soumission de projets de recherche en RF, RC ou SHS, traitant des sujets suivants, considérés comme prioritaires pour les patients :

✓ BIEN VIEILLIR AVEC LA MUCOVISCIDOSE / COMORBIDITES

Le patient adulte se trouve confronté de plus en plus souvent à des situations de vie, banales pour des personnes en bonne santé, mais susceptibles de présenter pour lui des difficultés. Citons ainsi la procréation et la grossesse, la vie sentimentale et la vie de famille, ainsi que l'insertion professionnelle.

De plus, chez le patient qui avance en âge, les comorbidités de la mucoviscidose deviennent plus fréquentes (ORL, complications digestives, risque accru de néoplasie notamment digestive, diabète, ostéoporose, complications néphrologiques, hépatiques, urologiques et périnéales, impacts psychologiques et psychiatriques...). Certains symptômes, comme la fatigue ou la douleur, altèrent la qualité de vie de nombreux adultes.

Dans le cadre de la thématique « Pathologies associées », le CSR souhaite que la recherche apporte des solutions pour accompagner les patients à bien vieillir et incite les chercheurs et les soignants à soumettre des projets répondant à ces problématiques.

✓ HEMOPTYSIE

L'hémoptysie (rejet de sang par la bouche provenant des voies aériennes sous-glottiques) est une complication aiguë respiratoire plus fréquente chez l'adulte avec une maladie avancée et reste une indication accélérée d'accès à la greffe, voire exceptionnellement une cause de mortalité. La mise en place d'études est recommandée afin d'approfondir les connaissances sur la physiopathologie de cette complication (facteurs de prédisposition, impact des traitements inhalés au long cours) et d'optimiser sa prise en charge.

Dans le cadre de la thématique « Pathologies associées », le CSR souhaite promouvoir la recherche sur l'hémoptysie dans la mucoviscidose et incite les chercheurs et les soignants à soumettre des projets répondant à cette problématique.

✓ PROBLÉMATIQUES SPÉCIFIQUES AUX PATIENTS GREFFÉS

Dans la transplantation pulmonaire, des progrès considérables ont été réalisés au niveau des techniques chirurgicales, du reconditionnement des greffons et de l'amélioration des traitements. Cependant, malgré un nombre de greffés pulmonaires en augmentation et une progression de la survie post-greffe, le rejet chronique et différentes complications (infections, hypertension artérielle, insuffisance rénale, diabète, cancer, troubles gastro-intestinaux...) restent des problématiques importantes. En France, environ 20% des patients adultes sont greffés et il est important de leur consacrer des efforts de recherche significatifs.

Par exemple, les interactions médicamenteuses étant nombreuses chez les patients transplantés, il serait intéressant de développer des études de pharmacodynamique et pharmacocinétique des immunosuppresseurs et autres molécules administrées au long court afin d'améliorer la prise en charge de ces patients.

Dans le cadre de la thématique « Transplantation », le CSR encourage la soumission de projets de recherche abordant les problématiques spécifiques aux patients greffés.

✓ NOUVELLES THERAPEUTIQUES

Les nouvelles molécules ciblant la fonction CFTR développées récemment ne concernent pas toutes les mutations et il est important de continuer à explorer d'autres pistes thérapeutiques s'adressant à tous les patients, indépendamment de leur profil génétique. D'autres approches innovantes doivent être envisagées, telles que la thérapie génique, les canaux alternatifs, les *nanobodies*, ou encore de nouvelles formulations pharmacologiques. D'autre part, l'évaluation des nouvelles thérapeutiques en vie réelle permettra de conforter les résultats obtenus dans des essais cliniques qui ne concernent qu'une minorité de patients et excluent le plus souvent les patients ayant les atteintes les plus sévères. Cette évaluation reste également importante pour détecter d'éventuels effets indésirables non décelés lors des essais cliniques.

Le CSR souhaite promouvoir la recherche sur les nouvelles thérapeutiques (nouvelles pistes et études en vie réelle) et incite les chercheurs et les soignants à soumettre des projets répondant à cette problématique.

✓ INFECTION, MICROBIOTES PULMONAIRE ET DIGESTIF

Les infections à *Pseudomonas aeruginosa* sont une cause majeure d'insuffisance respiratoire chez les patients atteints de mucoviscidose et font traditionnellement l'objet de projets présentés dans le cadre de la thématique « Infection » de l'Appel à projets. Cependant, certains sujets importants sont sous-explorés, tels que le rôle pathologique d'autres microorganismes, ainsi que les interactions de ces microorganismes au sein du microbiote pulmonaire. Les relations entre les microbiotes pulmonaire et digestif méritent d'être mieux connues. D'autre part, la mise au point de modèles pertinents d'infection chronique chez l'animal ou la phagothérapie constituent d'autres sujets d'intérêt.

Dans le cadre de la thématique « Infection », le CSR souhaite élargir le champ des recherches aux interactions microbiennes au sein des microbiotes pulmonaire et digestif des patients atteints de mucoviscidose.

✓ DONNEES DU REGISTRE FRANÇAIS DE LA MUCOVISCIDOSE

Le Registre français de la mucoviscidose est une base de données qui recueille, chaque année, des données de santé précises concernant la population touchée par la mucoviscidose. Le Registre est issu d'une collaboration active entre les CRCM, Vaincre la Mucoviscidose, l'Institut national d'études démographiques (Ined), la Société française de mucoviscidose (SFM) et plusieurs autres partenaires. Cet outil est à la disposition des chercheurs et des soignants pour tout projet de recherche.

Le CSR encourage les chercheurs et les soignants à faire appel au Registre français de la mucoviscidose pour leurs travaux de recherche (contact : registre@vaincrelamuco.org).

✓ OUTILS D'INTELLIGENCE ARTIFICIELLE

L'intelligence artificielle et le traitement des « big data » constituent la base des prochaines grandes avancées de la médecine avec l'objectif d'une médecine personnalisée. Ces approches ont déjà fait leurs preuves dans différents domaines tel que le cancer, et sont fortement plébiscitées à l'international. Ainsi, le CSR encourage l'exploitation et la valorisation des données déjà largement collectées sur la mucoviscidose (le Registre français, par exemple), pour la mise au point d'outils d'intelligence artificielle, pour l'aide au diagnostic, l'identification de biomarqueurs ou de nouvelles pistes thérapeutiques par exemple.

Le CSR encourage la soumission de projets faisant intervenir des outils et des approches d'intelligence artificielle dans toutes les thématiques de la recherche en mucoviscidose.