



REGISTRE FRANÇAIS DE LA MUCOVISCIDOSE

BILAN DES
DONNÉES
2024

Auteurs :

Adéline ANATO, Biostatisticienne, Vaincre la Mucoviscidose

Alexandre LAFOURCADE, Biostatisticien, Vaincre la Mucoviscidose

Antoine BESSOU, Directeur du pôle données de Santé, Vaincre la Mucoviscidose

Membres du Comité Stratégique du Registre :

Isabelle DURIEU, Animatrice de la Filière Muco-CFTR

Pierre-Régis BURGEL, Responsable du site coordonnateur et président de la SFM

Philippe REIX, Président du conseil médical de la mucoviscidose (CMM)

Dominique GRENET, ex Responsable du centre constitutif de transplantation, représentante CRCM Foch

David FIANT, ancien Président, Administrateur, Vaincre la Mucoviscidose

Dominique HUBERT, Vice-Présidente, Vaincre la Mucoviscidose

Francis FAVERDIN, Vaincre la Mucoviscidose

Thomas GRAINDORGE, Vaincre la Mucoviscidose

Thierry NOUVEL, Directeur Général, Vaincre la Mucoviscidose

Nathalie SENEAL, Directrice du pôle qualité des soins et politiques de santé, Vaincre la Mucoviscidose

Paola DE CARLI, Directrice du pôle recherche, Vaincre la Mucoviscidose

Antoine BESSOU, Directeur du pôle données de Santé, Vaincre la Mucoviscidose

Les auteurs remercient les médecins des centres et leurs équipes pour leur participation active au Registre.

Référence suggérée :

Registre français de la mucoviscidose – Bilan des données 2024

Vaincre la Mucoviscidose

Paris, Novembre 2025

Site Internet :

<https://www.vaincrelamuco.org/registredelamuco>

<https://www.vaincrelamuco.org/vosdonneesdesante>



SYNTHÈSES ET PERSPECTIVES

Augmentation de la population, vieillissement, stabilisation de la mortalité, la démographie de la mucoviscidose évolue témoignant des progrès thérapeutiques et des défis à venir. Les données de vraie vie issues du registre, transmises à la HAS dans le cadre de la réévaluation de Kaftrio, ont confirmé l'efficacité durable de la tritérapie. Cette efficacité se reflète dans une amélioration des principaux indicateurs de santé observés dans ce bilan qui fait aussi apparaître des réalités fortement contrastées.. En effet, près de 30 % des patients ne bénéficient pas de Kaftrio en raison de leur profil mutationnel ou de restrictions liées à l'âge ou encore pour les patients porteurs d'un greffon pulmonaire pour lesquels la mise sous Kaftrio fait l'objet d'une évaluation individuelle du rapport bénéfice-risque. Ces situations rappellent que la recherche de solutions thérapeutiques reste nécessaire. De plus des écarts persistants entre hommes et femmes, ainsi qu'une complexité croissante chez les patients plus âgés et une santé digestive et hépatique toujours fragile illustrent les défis à venir pour la prise en charge et le suivi des patients atteints de mucoviscidose.

Fait sans précédent, le registre français de la mucoviscidose a joué un rôle clé pour l'élargissement de l'accès à Kaftrio pour les patients, que ce soit en identifiant les patients éligibles au cadre de prescription compassionnelle (CPC) pour les patients non porteurs de la mutation F508Del ou en éclairant la réévaluation du traitement par la HAS. C'est pour pérenniser ce rôle dans la recherche et l'aide à la décision publique que le registre poursuit sa transformation en Entrepôt de données de santé.

HAUSSE DE LA POPULATION ET STABILISATION DE LA MORTALITÉ

On constate en 2024 une poursuite de la croissance de la population de patients atteints de mucoviscidose (8 008 en 2024, + 3%) en grande partie liée à l'avancée en âge de la population. L'âge moyen est à présent de 26,4 ans soit +0.7 an par rapport à 2023 tandis que le nombre de nouveaux diagnostics est de 162, comparable à celui de 2023. En 10 ans la population suivie a progressé de 21%, soit une augmentation moyenne annuelle de 2,2 %, sans que pour autant les moyens des centres aient connu une augmentation corrélative.

Cette dynamique contraste avec celle de la population greffée, en recul constant depuis 2021, année de la mise sur le marché de la trithérapie Kaftrio. En 2024, 874 patients greffés sont recensés, dont 837 greffés pulmonaires, représentant 10,6 % de l'ensemble des patients. Vingt-deux nouvelles greffes ont été réalisées cette année, dont dix greffes pulmonaires, confirmant la tendance à la baisse amorcée ces dernières années.

Les décès, toujours trop nombreux, paraissent se stabiliser à une cinquantaine par an depuis quelques années (52 en 2024). Toutefois, alors que sur les 3 dernières années 7 décès sur 10 concernaient les patients greffés, en 2024 on observe un léger recul (6/10). L'âge médian au décès demeure inférieur à 40 ans (39.5 ans) même s'il progresse un peu. Ces données sont à prendre avec précaution au regard du faible nombre de patients concernés.

UN ÉTAT DE SANTÉ EN AMÉLIORATION CONTINUE : L'IMPACT DE LA TRITHÉRAPIE DE MODULATEURS

Les principaux indicateurs de santé des patients poursuivent leur amélioration entre 2023 et 2024, témoignant notamment de l'efficacité durable des modulateurs de CFTR. Le VEMS moyen progresse légèrement, de deux points chez les adultes (80,1 %) et d'un point chez les enfants (100,2 %).

La diminution des traitements se poursuit, avec une proportion de cures IV en légère baisse (de 11,4 % à 11,1 %), et une réduction des infections à *Pseudomonas aeruginosa* (22,9 % à 21 %). Cette tendance se retrouve pour les thérapeutiques respiratoires : bronchodilatateurs (49,9 % à 48,3 %), antibiotiques inhalés (21,5 % à 18,8 %), macrolides (26,4 % à 24,7 %) et rhDNase (22,3 % à 18,4 %).

La fréquence des visites annuelles dans les centres de soins, quant à elle, continue de diminuer : seuls 53,3 % des patients réalisent au moins quatre consultations par an, contre 60 % en 2023 et 79 % en 2019, un phénomène particulièrement marqué chez les adultes. Cet espacement des visites pourrait traduire un besoin de moindre intensité du suivi en raison de l'amélioration de l'état de santé des patients sous modulateurs de CFTR. Mais cela pourrait aussi être lié à la difficulté des centres à maintenir la fréquence habituelle des visites au regard de l'augmentation de la file active. Le projet Horizon mené par la filière Muco CFTR, auquel le registre est étroitement associé, a pour ambition d'identifier cela et de revisiter le parcours de soins des patients à l'ère des modulateurs. Les résultats sont attendus pour 2026.

Focus - Les données du registre ont contribué à l'évaluation de Kaftrio :

Le 2 octobre 2025, l'Amélioration du Service Médical Rendu (ASMR) de Kaftrio a été relevé au niveau majeur (niveau 1) par la Commission de la transparence de la HAS. A notre connaissance, une telle réévaluation constitue un précédent historique qui a été rendu possible grâce notamment aux résultats de l'étude SOLAR¹. Cette étude est le fruit de travaux de recherche en vie réelle sur trois ans financés par Vaincre la Mucoviscidose et la filière Muco CFTR, et menés par les équipes du Pr Sermet (Paris Necker) pour les données pédiatriques et du Pr Burgel (Paris Cochin) pour la partie pneumologie adulte, via un questionnaire intégré au registre spécifiquement dédié. La HAS a souligné² la " qualité remarquable » des données du registre qui « ont permis de répondre aux attentes de la commission de disposer de données de vie réelle permettant de renseigner l'impact de la trithérapie en termes de morbi-mortalité, en pratique réelle ».

L'EXTENSION DE L'ACCÈS À KAFTRIO SE POURSUIT EN 2024

En 2024, 71 % des patients sont à présent sous modulateurs, dont 67.8% sous Kaftrio, ce qui témoigne de l'effectivité des extensions progressive des indications. Cela représente près de 80 % si on exclut les patients greffés pulmonaires pour lesquels la prise de modulateurs est à ce jour recommandée principalement dans l'optique d'un bénéfice ORL (Sinus) à l'instar de 29 patients greffés pulmonaires recensés en 2024.

Le nombre de patients bénéficiant de Kaftrio devrait être amené à progresser au regard de la dernière extension d'autorisation sur le marché européenne pour les patients 2/5 ans non porteurs de la mutation F508del et pour laquelle la HAS vient d'autoriser un accès précoce.

¹ C. Daly et al. P362 SOLAR: A non-interventional study of long-term outcomes in people with cystic fibrosis aged 6 years and older treated with ELX/TEZ/IVA using data from the National French CF Registry J Cyst Fibros, Volume 24, Supplement 1, 2025, P

² Avis de la commission de la transparence du 24 septembre 2025 de la HAS (https://www.has-sante.fr/jcms/p_3689248/fr/kaftrio/-kalydeco-ivacaftor/tezacaftor/eleacaftor-mucoviscidose-chez-l-adulte-et-l-enfant-a-partir-de-2-ans)

Focus - Du registre à l'extension d'AMM :

Le registre français de la mucoviscidose a joué un rôle important dans la mise en place du cadre de prescription compassionnelle (CPC) de Kaftrio destiné aux patients non porteurs de la mutation F508Del. Il a notamment permis d'identifier le nombre de patients potentiellement éligibles au programme lors des échanges avec l'ANSM. Le 4 avril 2025, sur la base des travaux en vie réelle issus du CPC³, d'analyses in vitro, et de données nord-américaines, l'Agence européenne du médicament (EMA) a étendu l'indication de Kaftrio aux patients porteurs d'au moins une mutation produisant une protéine CFTR fonctionnelle, à l'exception des mutations qui empêchent sa production (classe 1).

MAIS UNE PART ENCORE SIGNIFICATIVE DE PATIENTS SANS ACCÈS AUX MODULATEURS

En 2024, près de 30% des patients ne bénéficiaient pas de Kaftrio, en raison de leur profil mutationnel ou de restrictions liées à l'âge, ou encore du fait que la prescription des modulateurs chez les greffés pulmonaires n'est recommandé qu'en cas d'atteinte ORL sévère.

Focus - Vers une redéfinition des mutations répondeuses à Kaftrio :

Des travaux collaboratifs français⁴ portés par le Pr. Burgel ont permis d'identifier une liste de 955 mutations de classe I dites "véritables" qui bloquent totalement la production de la protéine CFTR, ainsi que 78 mutations de classe I dites "exceptionnelles", qui peuvent permettre la production de la protéine et donc bénéficier de Kaftrio. La liste des mutations non répondeuses au Kaftrio est donc amenée à évoluer à mesure que des données de vraie vie s'accumulent.

DES ÉCARTS PERSISTANTS ENTRE FEMMES ET HOMMES

En 2024, les femmes représentent 47,5 % de la population atteintes de mucoviscidose, plusieurs indicateurs montrent des disparités par rapport aux hommes. Elles présentent plus souvent une insuffisance pondérale (IMC < 18,5 % : 8,9 % vs 6,1 %) et un VEMS moyen légèrement inférieur (86,2 % vs 87,2 %). L'accès à la trithérapie Kaftrio est également moindre (66,5 % vs 69,1 %), et moins de femmes exercent une activité professionnelle que les hommes (47,3 % vs 55,8 %).

Les femmes représentent 54 % des décès, alors qu'elles constituent moins de la moitié des patients. Les données historiques de survie confirment cette tendance. Certains indicateurs de santé associés sont également plus fréquents chez elles : dépression (prévalence doublée), diabète et cancers. Ces différences, pouvant résulter de facteurs biologiques et sociaux déjà existants, traduisent néanmoins des écarts significatifs dans le contexte de la mucoviscidose susceptibles d'influencer le pronostic. L'amélioration globale de l'état de santé permet malgré tout un nombre stable de début de grossesse chaque année, avec une centaine de débuts de grossesse par an depuis 2021.

³ Burgel PR et al., *The expanded French compassionate programme for elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor use in people with cystic fibrosis without a F508del CFTR variant: a real-world study.* *Lancet Respir Med.* 2024 Nov;12(11):888-900. doi: 10.1016/S2213-2600(24)00208-X. Epub 2024 Aug 13

⁴ Burgel PR et al., *Elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor in people with cystic fibrosis harbouring two CFTR Class I variants: real-world data from the French compassionate programme.* *EClinicalMedicine.* 2025 Aug 30;88:103476. doi:10.1016/j.eclinm.2025.103476.

UNE SANTÉ DIGESTIVE ET HÉPATIQUE QUI NE S'AMÉLIORE PAS

L'évolution des principaux indicateurs de la santé digestive et hépatique contraste fortement avec celle de la santé respiratoire. Depuis l'arrivée de la trithérapie en 2021, le pourcentage de patients ayant une fonction pancréatique exocrine anormale baisse légèrement (78,7% vs 80,5%), le diabète demeure présent chez 22.5% contre 22,7% en 2021, et 26% contre 28.2% des patients continuent d'être traité pour un reflux gastro-oesophagien. Les maladies hépatiques, quant à elles ne diminuent pas (18,1%).

Focus - L'évolution du registre

Le registre français de la mucoviscidose est en cours d'évolution pour devenir un entrepôt de données de santé et l'inscrire dans les bases de confiance du futur Espace Européen des Données de Santé (EEDS). A partir de 2026, la collecte de données va se structurer grâce à la constitution d'une plateforme pérenne de collecte de données de santé dans la mucoviscidose et le recrutement de postes permanents. Il est aussi envisagé à partir de 2027 un recueil de données non plus uniquement annuel mais « à la visite », plus proche du suivi clinique. L'objectif est de faciliter les études en vraie vie, dont l'importance a été démontrée lors de la réévaluation de Kaftrio par la HAS.

LES DÉFIS DE L'AVANCÉE EN ÂGE DES PATIENTS ET LA CHARGE DES COMORBIDITÉS

En 2024, 1 550 patients ont plus de 40 ans, parmi lesquels 427 sont porteurs d'un greffon pulmonaire, soit 27.5% de cette tranche d'âge et 51.5% des greffés pulmonaires. Les patients de plus de 40 ans présentent une charge de soins plus importante, avec 42 % sous macrolides (vs 27,7 % dans la population générale), 27,1 % sous antibiotiques inhalés (vs 18,8 %) et 15,5 % ayant eu une cure IV (vs 11,1 %). L'infection à *Pseudomonas aeruginosa* touche 31,8 % d'entre eux (vs 21 %), et 5,6 % nécessitent de l'oxygénothérapie (vs 1,9 %), 3,5 % une ventilation non invasive (vs 1,8 %).

Les comorbidités sont également plus fréquentes chez les patients de plus de 40 ans: diabète (40,8 % vs 22,5 % dans la population générale), ostéoporose (41,1 % vs 19,3 %), cancer (5,2 % vs 1,7 %), arthropathies (10 % vs 3,5 %), dépression (20,1 % vs 11,5 %), hypertension (22,1 % vs 7 %) et surdité (17,5 % vs 7,4 %). Ces chiffres illustrent que, à mesure que les patients vieillissent, l'impact de l'âge sur la complexité médicale et la prise en charge devient de plus en plus prononcé.

ANTOINE BESSOU
Responsable du registre

THIERRY NOUVEL
Directeur Général



Sommaire

La mucoviscidose	6
Le Registre français de la mucoviscidose	7
1. Démographie	9
2. Mortalité	13
3. Grossesses - Paternités	15
4. Diagnostic	17
5. Anthropométrie	23
6. Spirométrie	26
7. Microbiologie	28
8. Éléments de morbidité	32
9. Transplantations et chirurgies	36
10. Consultations et hospitalisations	38
11. Prise en charge thérapeutique	39
12. Données sociales	46
Annexe 1 - Compléments sur l'analyse de survie	49
Annexe 2 - Spirométrie et transplantation	50
Annexe 3 - Centres participants	53
Annexe 4 - Synthèse des données	55
Annexe 5 - Synthèse des données des transplantés et des non transplantés	57
Annexe 6 - Synthèse des données des formes classiques et des formes atypiques	59
Annexe 7 - Synthèse des données des hommes et des femmes	60

Informations générales

Les pourcentages peuvent ne pas sommer exactement à 100 du fait des arrondis.

Sont considérés comme enfants les patients de moins de 18 ans, et comme adultes les patients de 18 ans et plus.



La mucoviscidose

La mucoviscidose est une maladie héréditaire à transmission autosomique récessive : seuls les sujets ayant hérité de deux mutations – l'une provenant du père, l'autre de la mère – sont atteints.

Le gène responsable de la maladie, appelé gène *CFTR* (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator) a été identifié en 1989 ; il est situé sur le bras long du chromosome 7 (7q31) et code pour la protéine CFTR intervenant dans la régulation du transport des ions chlorures au niveau de la membrane cellulaire. Plus de 2 000 mutations ont été identifiées à ce jour, parmi lesquelles la plus fréquente (rencontrée chez environ 80% des malades en France) est la mutation F508del.

Avant la mise en place du dépistage néonatal systématique, le diagnostic était le plus souvent évoqué, après une période d'errance diagnostique plus ou moins longue, devant des signes d'appels cliniques (ileus méconial, diarrhée grasseuse, encombrement et/ou infections récidivantes des voies respiratoires) et confirmé par un test de la sueur positif révélant un taux élevé d'ions chlorure dans la sueur. Celui-ci était complété par l'analyse moléculaire du gène *CFTR* et la recherche des mutations en cause.

Depuis 2002, le dépistage néonatal systématique a été étendu à l'ensemble du territoire métropolitain ainsi qu'en France d'Outre-mer. L'algorithme du dépistage fait appel au dosage sanguin de la trypsine immuno-réactive (TIR) et à la recherche des mutations *CFTR* les plus fréquentes (30 puis 29 depuis le 01/01/2015). La TIR est une protéine dont la présence est plus abondante en cas d'anomalie pancréatique pendant la vie fœtale et les premiers mois de vie. Son dosage permet de repérer de l'ordre de 95% des nouveau-nés atteints de mucoviscidose ; toutefois, la spécificité insuffisante du dosage de la TIR (qui sélectionne également des enfants qui ne sont pas atteints de mucoviscidose) explique la nécessité du couplage à l'analyse moléculaire.

Après recherche des principales mutations *CFTR*, trois cas de figure peuvent se présenter :

- deux mutations sont identifiées. Le nouveau-né et ses parents sont convoqués dans un centre de ressources et de compétences de la mucoviscidose (CRCM) pour une confirmation du diagnostic reposant sur l'évaluation clinique et un test de la sueur positif, ainsi que pour la mise en place du traitement et du suivi ;
- une seule mutation est identifiée (le risque qu'une deuxième mutation ne soit pas identifiée est d'environ 10%). Le test de la sueur doit être réalisé dans un centre spécialisé. Si le test est positif, l'enfant est pris en charge comme ceux du groupe précédent. Si le test se révèle négatif, l'information sur l'hétérozygotie du nouveau-né sera donnée aux parents lors d'une consultation de conseil génétique ;
- aucune mutation n'est retrouvée et la TIR est très élevée, un contrôle de TIR par prélèvement sanguin sur buvard vers 21 jours de vie est pratiqué. La persistance d'une TIR élevée à J21 conduira à une consultation dans un centre spécialisé pour évaluation complémentaire (test de la sueur).

Un test de la sueur dont le résultat est douteux (« intermédiaire ») devra être répété.

Si l'étude génétique n'est pas réalisée (absence de consentement parental au dos du buvard du Guthrie), en cas de TIR au-dessus du seuil, un contrôle de TIR par prélèvement sanguin sur buvard vers 21 jours de vie est pratiqué et en cas de persistance d'une TIR élevée, cela conduira à une consultation dans un centre spécialisé pour évaluation complémentaire (test de la sueur).

L'anomalie de fonctionnement de *CFTR* s'exprime principalement au niveau des voies respiratoires, du tube digestif, du foie, des glandes sudoripares et du tractus génital. D'un patient à l'autre, on observe une grande diversité d'expression clinique, tant pour l'âge d'apparition des premiers symptômes que pour la sévérité de l'évolution ; la sévérité de l'atteinte respiratoire conditionne le pronostic vital dans la majorité des cas.

Les traitements symptomatiques – très contraignants – reposent essentiellement sur la prise en charge respiratoire (kinésithérapie, traitements inhalés, antibiothérapie, oxygénothérapie), digestive et nutritionnelle (extraits pancréatiques et régime alimentaire). Depuis quelques années, « les nouvelles thérapies ciblées instaurées à un âge minimal encore évolutif » orientées sur les dysfonctions liées à certaines mutations de *CFTR* (traitements modulateurs ou correcteurs) visent le mécanisme causal de la maladie. L'éducation thérapeutique fait partie intégrante de la prise en charge multidisciplinaire.



Le Registre français de la mucoviscidose

Objectifs

L'association Vaincre la Mucoviscidose a mis en place en 1992 un Observatoire National de la Mucoviscidose (ONM) ayant les objectifs suivants :

- améliorer la connaissance des caractéristiques médicales et sociales,
- mieux appréhender le coût socio-économique de la maladie afin d'évaluer l'adéquation des ressources aux besoins en constante évolution,
- améliorer l'information pour éclairer les parents et les patients dans leurs choix personnels, et les partenaires institutionnels dans leurs choix stratégiques,
- mieux orienter la recherche en particulier en permettant la pré-sélection des patients éligibles à des essais cliniques,
- évaluer l'impact des interventions thérapeutiques et faciliter l'accès aux nouveaux traitements.

À ces objectifs initiaux s'est ajouté celui de l'exhaustivité de l'étude de la population malade. L'association a ainsi oeuvré pour transformer l'ONM en un Registre français de la mucoviscidose. En juillet 2006, cette évolution a reçu l'avis favorable du CCTIRS ainsi que celui de la CNIL en mars 2007. Le Registre s'est soumis, depuis 2008 (avec renouvellements en 2011, 2015, 2021 et en 2025), à une qualification par le Comité d'Évaluation des Registres.

Population et données

La population du Registre est composée des personnes atteintes de mucoviscidose et suivies par les centres de soins en France (métropole et île de la Réunion) participant au Registre. Le recueil des données est effectué par les équipes des centres une fois par an à partir d'un questionnaire transmis soit via internet sécurisé, soit à partir de logiciels patients. Les informations demandées font référence à l'année échue et concernent l'identification semi-anonyme du patient, le diagnostic, le suivi médical, les thérapeutiques utilisées, les données anthropométriques, fonctionnelles respiratoires, bactériologiques et évolutives. Des questionnaires complémentaires recueillent des données sur les grossesses, le complexe *Burkholderia cepacia* et l'inclusion dans les essais cliniques, mais aussi sur les modulateurs du CFTR et les patients porteurs d'une mycobactérie atypique.

Exploitation des données

L'exploitation statistique porte sur les données pseudonymisées. Sauf indication contraire, les résultats présentés ci-après portent sur la population vue dans un centre de soins dans le courant de l'année 2024.

Les données manquantes ont été considérées comme une absence d'évènement, les pourcentages calculés peuvent donc être sous-estimés.

Utilisation des données

Les données sont utilisées pour réaliser des études sur diverses thématiques. Certaines font l'objet de publications et de communications aux congrès internationaux.

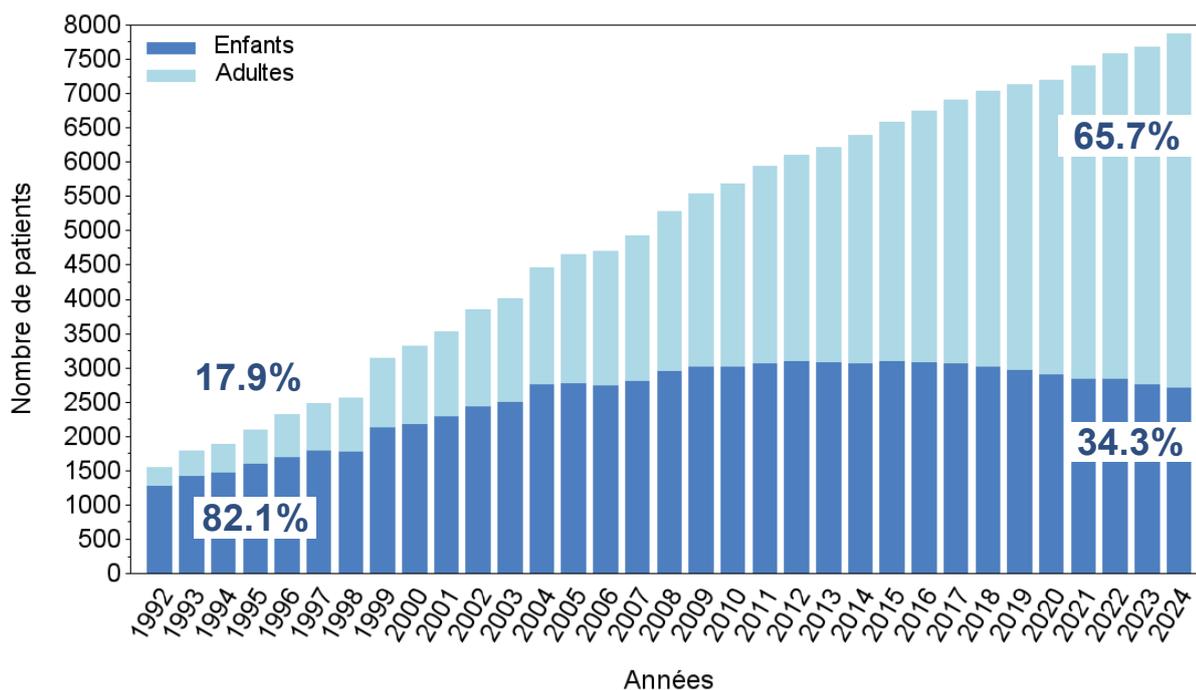
Le Registre français participe au Registre européen de la mucoviscidose (géré par la Société Européenne de la mucoviscidose-ECFS) afin de permettre une utilisation conjointe des données avec d'autres pays. Les comparaisons entre indicateurs de Registres nationaux doivent être faites avec précaution en raison de nombreux biais liés en particulier à l'impact du dépistage néonatal systématique, de la fréquence du recours à la transplantation, des conditions socio-économiques mais aussi du respect des règles de mesure, des références de populations utilisées et des limites des statistiques, notamment en cas d'un nombre trop faible de patients dans un groupe d'âges.

Dans le cadre d'un partenariat avec les Hospices Civils de Lyon (HCL), les données du Registre ont été chaînées avec celles de l'Assurance Maladie (Système National des Données de Santé). L'objectif étant de réaliser des analyses plus poussées grâce à des données plus riches.

1. Démographie

■ Caractéristiques de la population

Figure 1.1. Evolution du nombre de patients depuis 1992



Registre français de la mucoviscidose 2024

Tableau 1.1. Évolution annuelle des principaux indicateurs

Indicateurs	Années d'enquête										
	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024
Patients recensés*	6405	6598	6758	7043	7124	7246	7351	7499	7712	7772	8008
Patients vus dans l'année**	6391	6588	6750	6905	7039	7128	7192	7399	7583	7674	7873
Enfants	3061	3086	3070	3052	3003	2956	2897	2834	2834	2746	2699
- dont greffés pulmonaires	24	22	20	17	13	14	15	8	7	4	4
Adultes	3330	3502	3680	3853	4036	4172	4295	4565	4749	4928	5174
- dont greffés pulmonaires	648	693	762	817	852	880	910	913	884	847	829
+ de 40 ans	581	661	751	819	900	977	1050	1212	1313	1401	1550
- dont greffés pulmonaires	165	189	221	251	280	309	336	367	384	392	427
Hommes	3307	3427	3537	3609	3672	3728	3741	3844	3974	4014	4136
Femmes	3084	3161	3213	3296	3367	3400	3451	3555	3609	3660	3737
Age moyen (années)	20.7	21.1	21.8	22.3	22.9	23.4	23.9	24.8	25.2	25.7	26.4
Age médian (années)	18.9	19.2	19.8	20.3	20.9	21.3	21.9	22.8	23.3	24	24.7
Age minimum (années)	0	0	0.1	0.1	0.1	0.1	0.1	0	0	0.1	0.1
Age maximum (années)	82.8	83.2	84.1	85.1	86.1	84.6	85.6	86.6	87.6	88	89.6

*Patients pour lesquels le statut vital est connu, qu'ils aient été vus ou non par un centre.

**Patients de référence pour les statistiques figurant dans ce rapport, hormis les données sur les décès.

Ce tableau est actualisé chaque année en tenant compte des mises à jour effectuées sur les données antérieures. Les patients avec un diagnostic en attente (12 patients en 2024) ou éliminé ont été retirés des analyses.

Registre français de la mucoviscidose 2024

1. Démographie

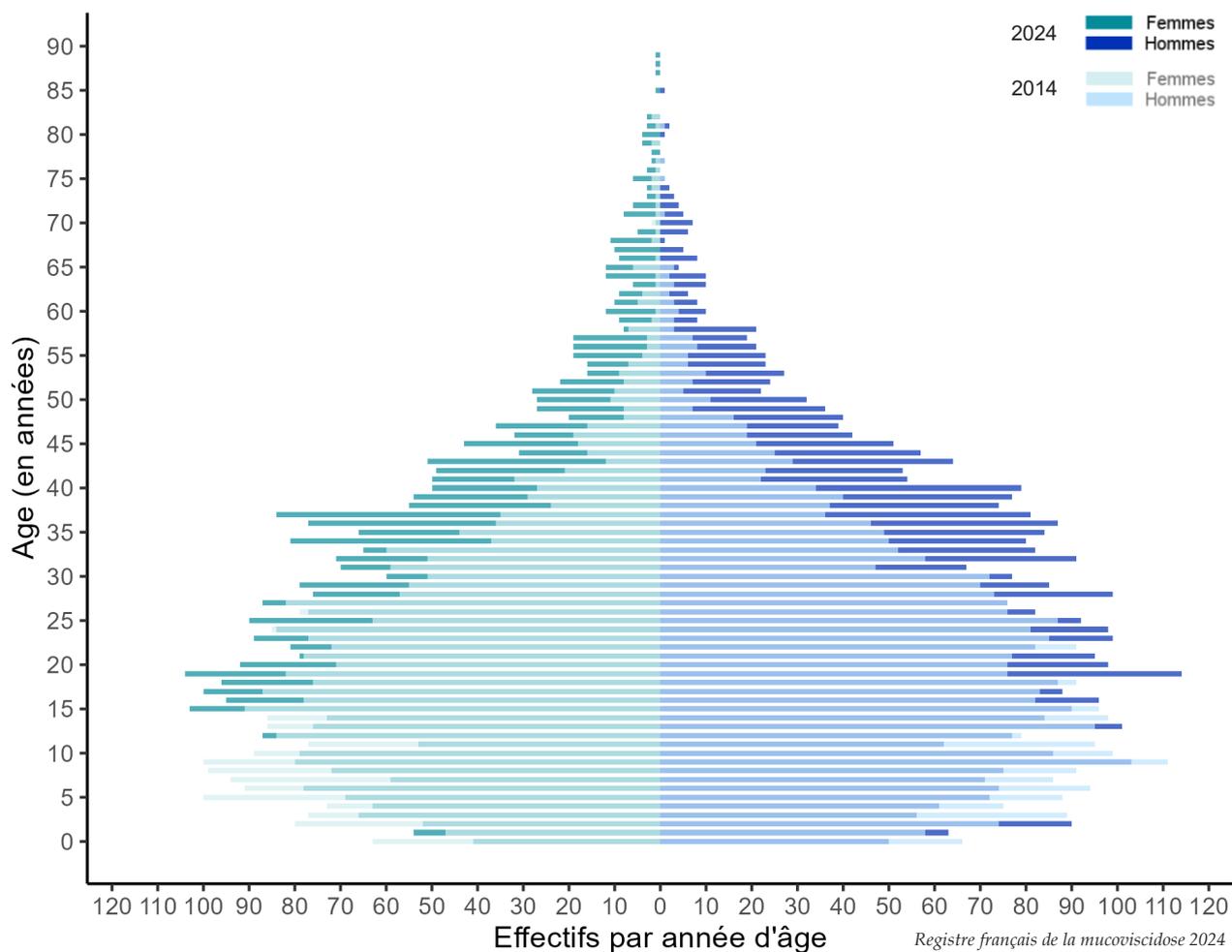
■ Caractéristiques de la population

Tableau 1.2. Caractéristiques de la population, par sexe et âge

Caractéristiques	2022		2023		2024	
	Hommes	Femmes	Hommes	Femmes	Hommes	Femmes
Patients vus dans l'année	3974	3609	4014	3660	4136	3737
Enfants	1463	1371	1409	1337	1399	1300
Adultes	2511	2238	2605	2323	2737	2437
Age moyen (années)	25.2	25.2	25.7	25.7	26.4	26.4
Age médian (années)	23.6	23.1	24.3	23.7	25	24.4

Registre français de la mucoviscidose 2024

Figure 1.2. Pyramide des âges



Registre français de la mucoviscidose 2024

Le nombre de nouveau-nés de 2024 (patients âgés de moins de 1 an) est légèrement sous-estimé car il ne tient pas compte des enfants nés en 2024 et vus pour la première fois dans un CRCM en 2025.

1. Démographie

■ Localisation par type de centre

Tableau 1.3. Répartition et caractéristiques des patients par type de centre

Types de centres	Nb	Caractéristiques des patients			Age des patients (années)				
		Nb (a)	%	Nb moyen par centre	Min	Max*	Moyen	Médiane	Inter-quartile
CRCM									
CRCM Pédiatriques	17	2043	25.9	120.2	0.1	68.9	11.0	11.0	9.8
CRCM Adultes	14	3533	44.9	252.4	17.2	89.6	36.6	34.7	16.2
CRCM Mixtes	16	2273	28.9	142.1	0.1	87.6	24.6	22.1	21.8
<i>Sous-total</i>	47	7849	99.7	167	0.1	89.6	26.4	24.8	23.1
Autres centres									
Centres Pédiatriques	1	8 (b)	0.1	8.0	10.7	17.6	13.4	12.7	3.3
Centres Mixtes	1	16	0.2	16.0	5.9	17.9	13.9	14.1	3.4
<i>Sous-total</i>	2	24	0.3	12	5.9	17.9	13.7	13.6	3.7
Tous centres	49	7873	100	160.7	0.1	89.6	26.4	24.7	23.1

Registre français de la mucoviscidose 2024

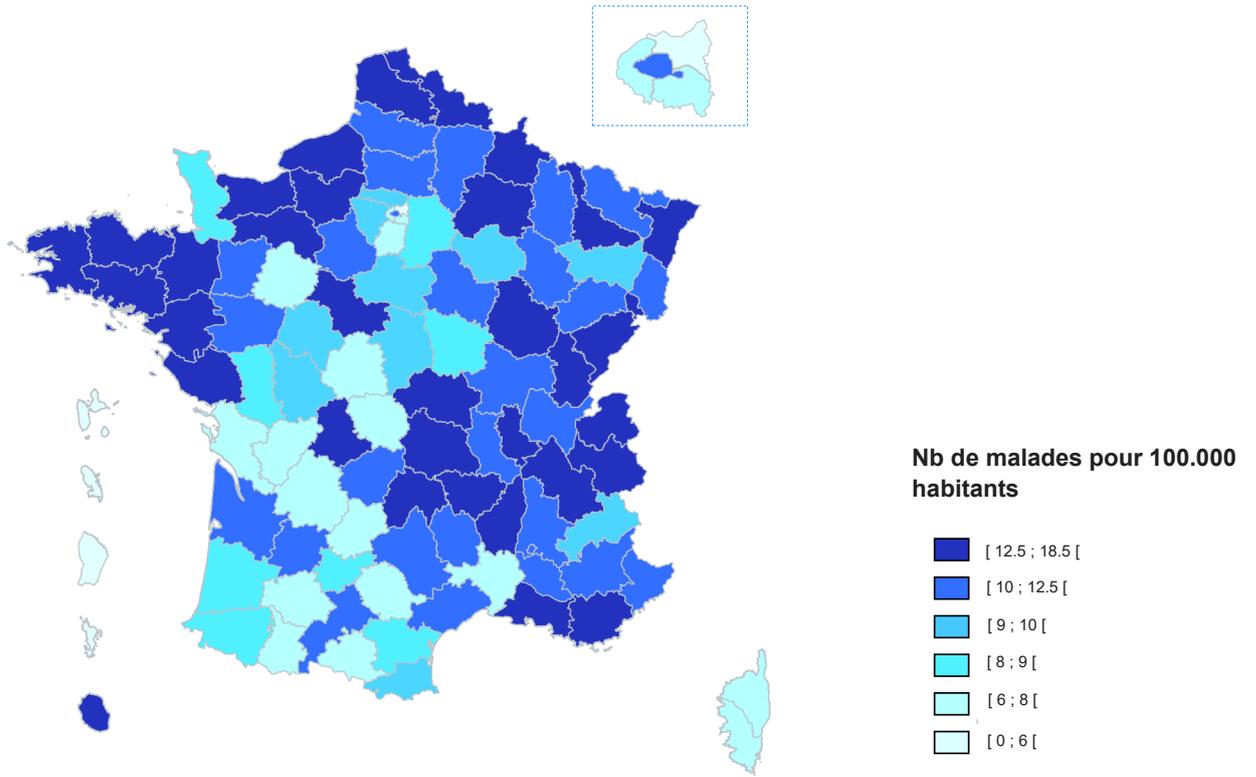
Notes : (a) Les patients vus en cours d'année dans au moins deux centres ont fait l'objet d'un traitement spécifique : un patient entrant dans cette catégorie n'a été compté qu'une seule fois et affecté au centre principal (celui qui a suivi le patient le plus régulièrement).
(b) Dont 1 patient vu également par un CRCM.

* Les situations où des centres adultes suivent des enfants, et vice versa, sont très rares et correspondent à des cas particuliers.

1. Démographie

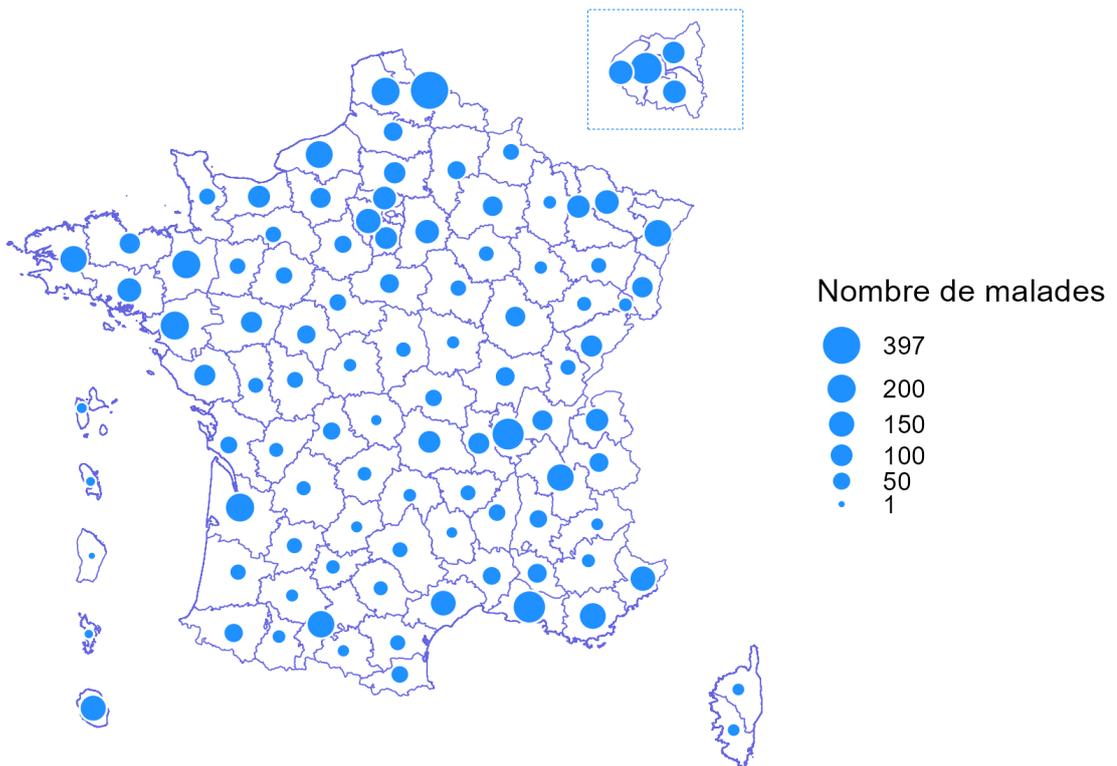
■ Localisation géographique

Carte 1.1. Prévalence de la mucoviscidose par département de résidence (nombre de patients pour 100 000 habitants)



Registre français de la mucoviscidose 2024

Carte 1.2. Localisation des patients selon le département de résidence (effectifs absolus)

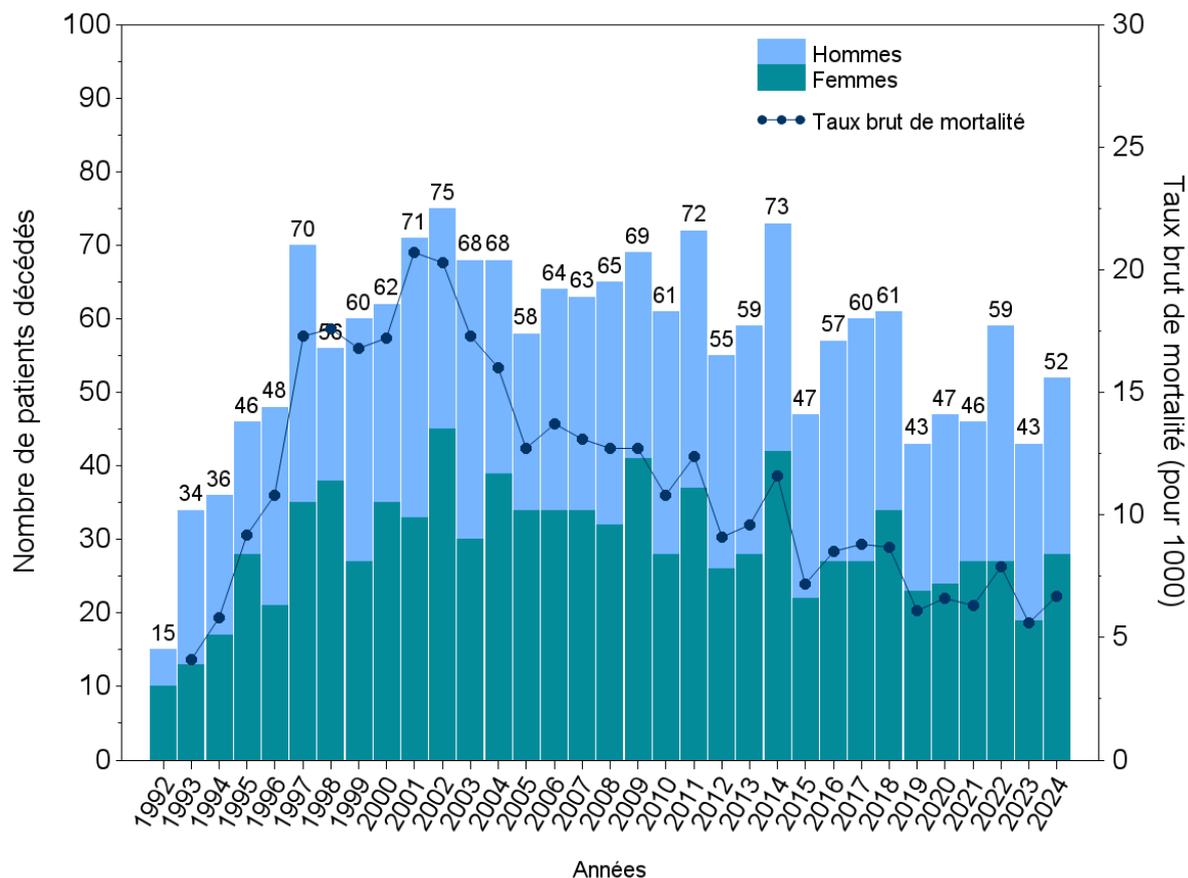


Registre français de la mucoviscidose 2024

2. Mortalité

■ Caractéristiques

Figure 2.1. Nombre de décès dans l'année, évolution depuis 1992



Registre français de la mucoviscidose 2024

Tableau 2.1. Caractéristiques des patients décédés

Indicateurs	Années d'enquête										
	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024
Nombre de décès	73	47	57	60	61	43	47	46	59	43	52*
- dont patients porteurs d'un transplant	41	25	38	36	37	22	26	33	42	31	32
- part des transplantés dans les décès (%):	56.2	53.2	66.7	60.0	60.7	51.2	55.3	71.7	71.2	72.1	61.5
Taux brut de mortalité (pour 1000)	11.6	7.2	8.5	8.8	8.7	6.1	6.6	6.3	7.9	5.6	6.7
Age moyen (années)	29.5	35.5	32.4	35.8	34.1	35.6	37.0	42.5	44.0	39.9	41.2
Age médian (années)	27.4	32.5	28.2	33.8	31.6	35.9	33.0	39.1	41.5	38.5	39.5
Age minimum (années)	0.1	9.0	1.6	6.0	7.3	0.4	0.3	12.8	0.4	1.7	11.8
Age maximum (années)	71.2	83.2	81.7	74.3	80.9	65.9	85.8	82.2	82.2	77.2	89.6

Registre français de la mucoviscidose 2024

*Parmi ces patients, 13 n'ont pas été vus en 2024.

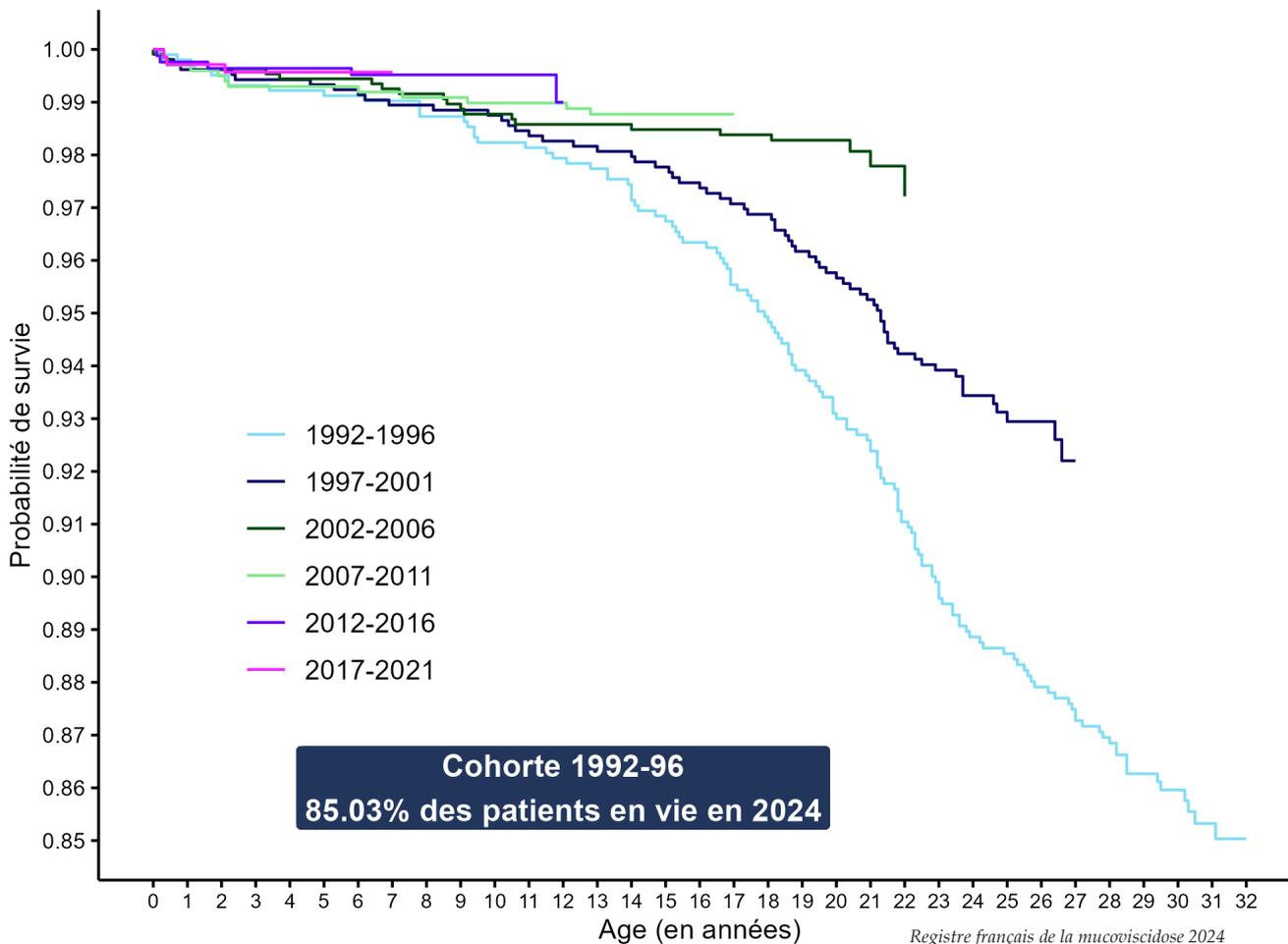
2. Mortalité

■ Analyse de survie

Figure 2.2. Survie selon la cohorte de naissance (méthode de Kaplan-Meier)

Pour rendre compte de l'évolution de l'état de santé des patients du Registre, une analyse de survie (méthode de Kaplan-Meier) a été réalisée pour six cohortes différenciées selon l'année de naissance ; les effectifs et les décès dans ces cohortes se répartissaient de la façon suivante :

- naissances de 1992 à 1996 (en 2024 cette cohorte a pu être suivie pendant 33 ans au maximum) : 1028 patients, chez lesquels sont survenus 140 décès
- naissances de 1997 à 2001 (28 ans de suivi au maximum) : 1050 patients, 71 décès
- naissances de 2002 à 2006 (23 ans de suivi au maximum) : 1089 patients, 24 décès
- naissances de 2007 à 2011 (18 ans de suivi au maximum) : 998 patients, 12 décès
- naissances de 2012 à 2016 (13 ans de suivi au maximum) : 839 patients, 6 décès
- naissances de 2017 à 2021 (8 ans de suivi au maximum) : 701 patients, 3 décès



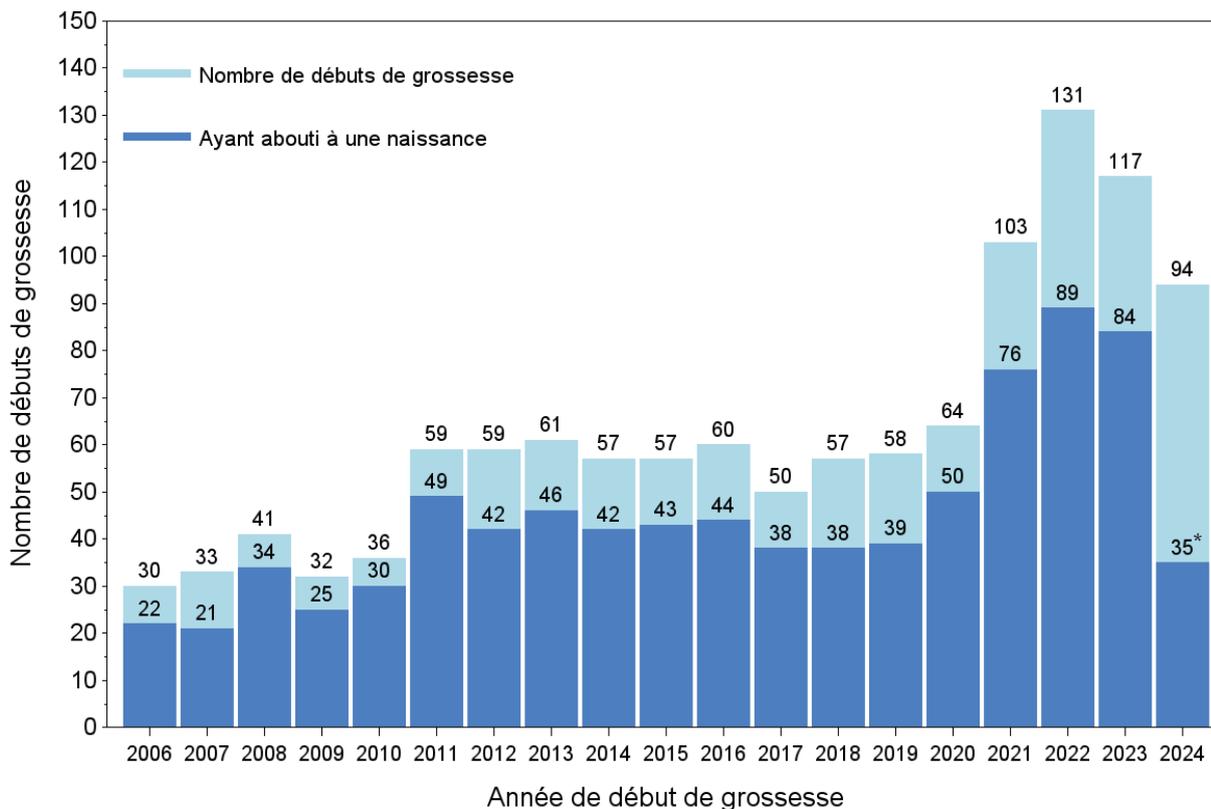
Note: La dernière année de la courbe de chaque cohorte est calculée avec seulement 20% de la population de chaque cohorte. Par exemple dans la cohorte 2002-2006, seul les patients nés en 2002 atteignent leur 22ème année en 2024. L'effectif n'est donc pas suffisant pour calculer de manière fiable la courbe sur la 22ème année. Les courbes ont donc été amputées de cette dernière année.

L'analyse des deux cohortes les plus anciennes (1992-1996 et 1997-2001) montre une différence de survie à partir de l'âge de 8 ans. Cette différence est statistiquement significative (test du Log-Rank = 12.39 avec $p = 0.0004$).

Une analyse de survie complémentaire par sexe est disponible en annexe 1.

3. Grossesses – Paternités

Figure 3.1. Nombre de débuts de grossesse et de naissances, évolution depuis 2006



Registre français de la mucoviscidose 2024

* Certaines issues de grossesses n'étaient pas connues au moment du recueil des données. Les chiffres donnés pour 2024 sont donc présentés à titre informatif et ne doivent pas être considérés comme définitifs.

Tableau 3.1. Caractéristiques des débuts de grossesse

Caractéristiques	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024*
Nombre de débuts de grossesse	57	57	60	50	57	58	64	103	131	117	94
Taux de conception chez les femmes âgées de 15 à 49 ans (pour 1000)	33.9	32.3	32.9	26.6	29.5	29.4	31.4	48.2	59.2	51.6	.
Age moyen au 31/12 de l'année de début de la grossesse	28.6	30.7	28.1	29.9	29.9	29.9	29.5	31.1	30.2	30.3	30
Nombre de patientes transplantées pulmonaires ayant un début de la grossesse	1	3	4	4	10	11	4	8	9	3	3

Registre français de la mucoviscidose 2024

* Au moment du recueil des données les informations sur le nombre de grossesse et de naissances n'étant pas complètes, nous n'indiquons pas le taux de conception.

3. Grossesses – Paternités

Tableau 3.2. Paternités

Caractéristiques	N	Proportion (%)
Nombre de paternités, dont :	37	
- Paternité naturelle	3	8.1
- Aide médicale à la procréation, dont	32	86.5
+ ICSI + FIV	27	84.4
+ Insémination artificielle avec donneur	1	3.1
- Greffés pulmonaires	3	8.1

Registre français de la mucoviscidose 2024

Note : La précision sur l'aide médicale à la procréation est manquante pour 4 patients.

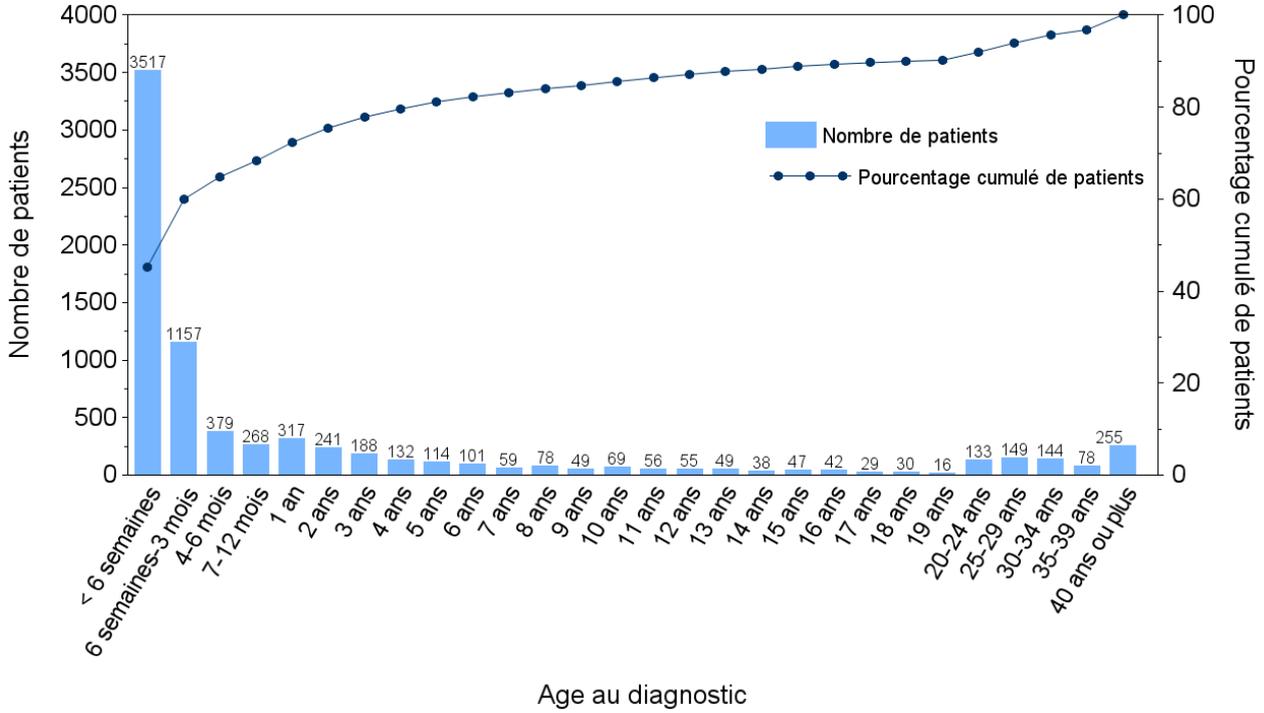
La précision sur le type de paternité est non renseignée pour 2 patients.

4. Diagnostic

■ Principales caractéristiques

Figure 4.1. Nombre et pourcentage cumulé de patients selon l'âge au diagnostic

N = 7790 (effectif des patients pour lesquels l'âge au diagnostic est connu).



Registre français de la mucoviscidose 2024

4. Diagnostic

■ Principales caractéristiques

Tableau 4.1. Caractéristiques du diagnostic

Caractéristiques	2024
ENSEMBLE DES PATIENTS	
Patients dont l'âge au diagnostic est connu	7790 (98.9 %)
Age au diagnostic	
- Age médian (mois)	1.8
- Age moyen (années)	5.2
- Age minimum (années)	0
- Age maximum (années)	81
NOUVEAUX PATIENTS	
Effectif *	
Nouveaux patients - N (%)	162 (2.1 %)*
- dont patients nés dans l'année - N	91
Age au diagnostic	
- Age médian (mois)	1.4
- Age moyen (années)	11.9
- Age minimum (années)	0
- Age maximum (années)	81
Contexte du diagnostic	
1. Nouveaux patients hypertrypsinémiques issus du dépistage néonatal (DNN)	102
- dont Diagnostic anténatal - N (%)	12 (11.8 %)
- dont Ileus méconial (IM) - N (%)	6 (5.9 %)
2. Diagnostic hors DNN	60
- dont Symptômes autres qu'IM - N (%)	60 (100.0 %)
- Age moyen au diagnostic (années)	31.6

Registre français de la mucoviscidose 2024

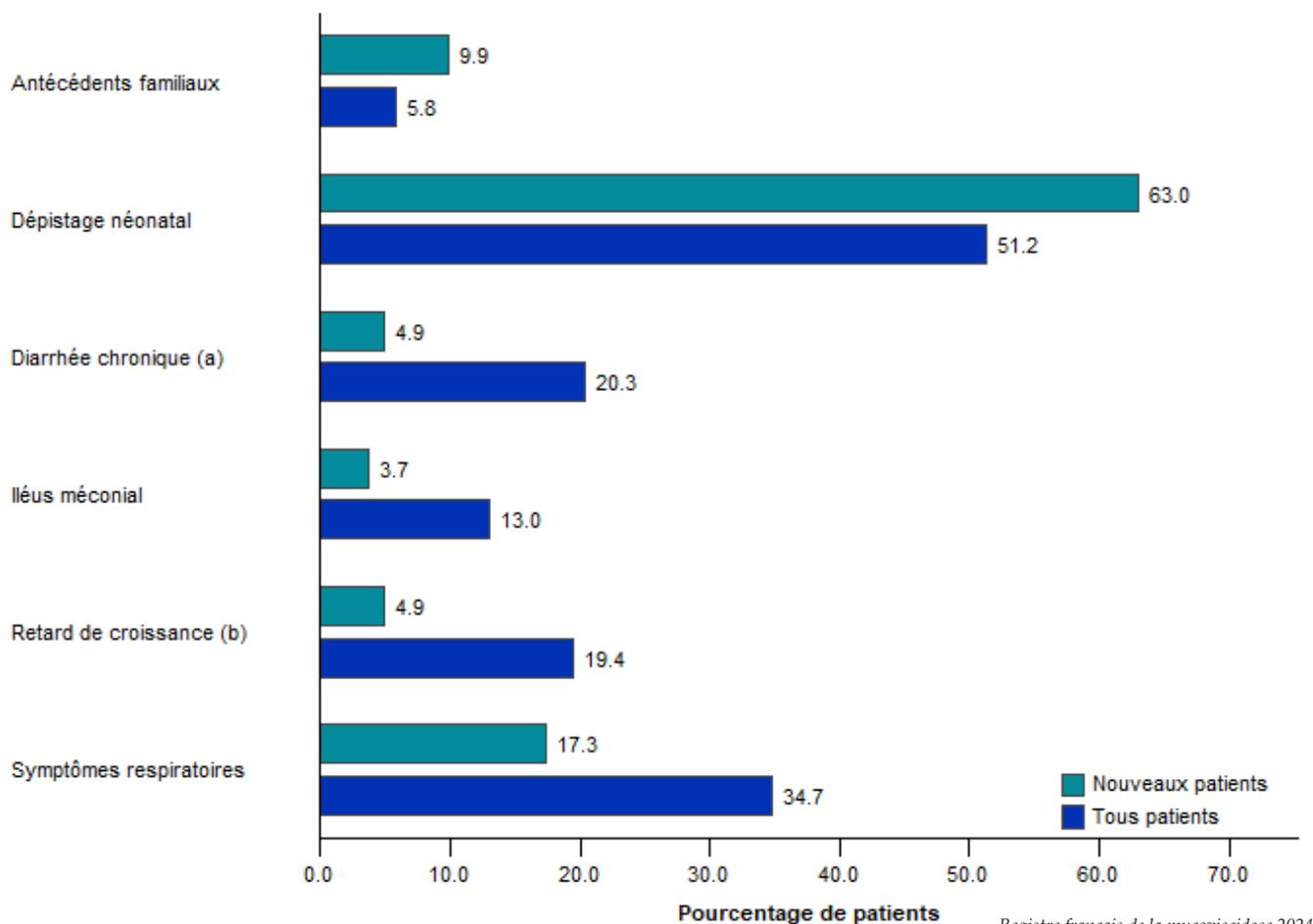
*Parmi les 162 nouveaux patients, 91 étaient des nouveau-nés de 2024. De par la méthode utilisée pour réaliser ce rapport (patients vus en 2024 dans un centre de soins), les nouveau-nés de 2024 vus pour la première fois en 2025 n'ont pas été inclus. À titre indicatif, 10 nouveau-nés de 2023 ont eu un diagnostic de mucoviscidose par dépistage néonatal établi en 2024 ; dans la pyramide des âges de 2023 l'effectif des patients âgés de 0 an qui était de 91 aurait donc pu s'élever à $91+10 = 101$.

Le nombre de diagnostics issus du DNN (102) donné dans ce rapport n'est pas le nombre réel de dépistés en France au cours de l'année, mais le nombre de patients pour lesquels le dépistage a été à l'origine du diagnostic. Il exclut donc les patients pour lesquels le diagnostic a été porté avant le résultat du dépistage.

4. Diagnostic

■ Circonstances du diagnostic

Figure 4.2. Circonstances du diagnostic (les plus fréquentes)



(a) Diarrhée chronique / stéatorrhée / malabsorption

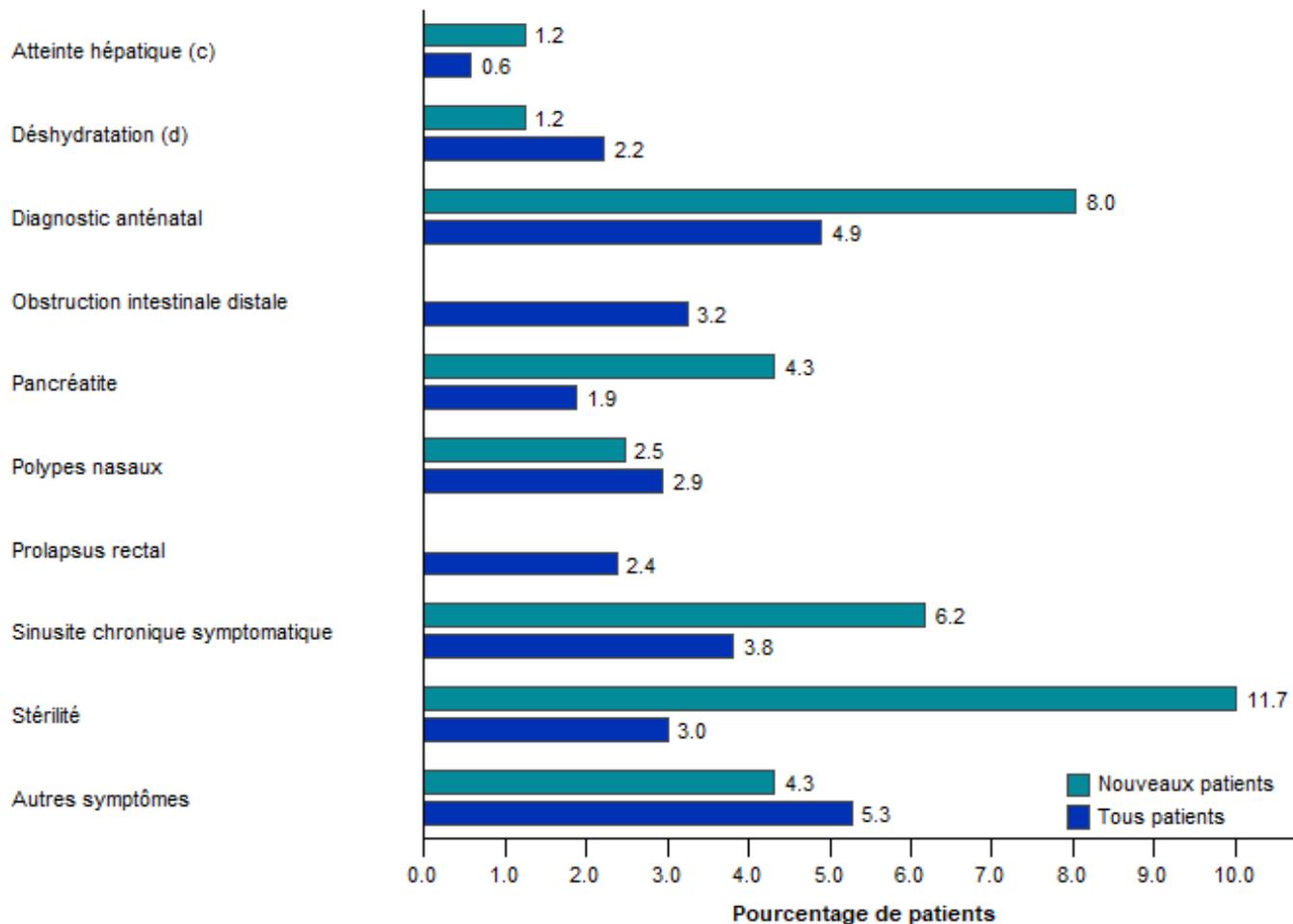
(b) Retard de croissance / malnutrition

Un même patient peut être concerné par plusieurs circonstances diagnostic. Les proportions indiquées pour chaque diagnostic sont calculées indépendamment et rapportées à l'ensemble des patients.

4. Diagnostic

■ Circonstances du diagnostic

Figure 4.3. Circonstances du diagnostic (les moins fréquentes)



Registre français de la mucoviscidose 2024

(c) Atteinte hépatique / ictère / hypertension portale

(d) Déshydratation / troubles électrolytiques

Un même patient peut être concerné par plusieurs circonstances diagnostic. Les proportions indiquées pour chaque diagnostic sont calculées indépendamment et rapportées à l'ensemble des patients.

4. Diagnostic

■ Génotypes

Tableau 4.2. Prévalence des 40 mutations les plus fréquentes

Mutations	Nombre de patients *	Proportion (en%)
F508del	6539	83.1
G542X	427	5.4
N1303K	319	4.1
2789+5G>A	211	2.7
1717-1G>A	165	2.1
R117H	143	1.8
G551D	138	1.8
L206W	129	1.6
R553X	125	1.6
3849+10kbC>T	118	1.5
W1282X	115	1.5
D1152H	104	1.3
I507del	99	1.3
3272-26A>G	92	1.2
711+1G>T	85	1.1
Y122X	79	1.0
2183AA>G	77	1.0
R347P	75	1.0
3120+1G>A	67	0.9
R334W	66	0.8
R1162X	62	0.8
Y1092X	56	0.7
A455E	54	0.7
G85E	54	0.7
R347H	52	0.7
3659delC	50	0.6
1078delT	49	0.6
S945L	47	0.6
394delTT	38	0.5
R1066C	35	0.4
W846X	35	0.4
1811+1.6kbA>G	34	0.4
621+1G>T	34	0.4
E60X	34	0.4
1677delTA	30	0.4
L997F	27	0.3
E585X	26	0.3
S1251N	26	0.3
Q220X	24	0.3
G576A	22	0.3

Registre français de la mucoviscidose 2024

* Avec au moins une copie de la mutation considérée.

4. Diagnostic

■ Génotypes

Tableau 4.3. Proportion et âge des patients selon le génotype

Génotypes	Patients		Age (années)		
	Nombre	%	Moyen	Médian	Max
F508del / F508del	3157	40.1	24.7	24.1	70.1
F508del / Autre	3345	42.5	27.3	25.2	89.6
Autre / Autre	1252	15.9	26.9	23.9	89.0
Sous Total (génotypes renseignés)	7754	98.5	26.2	24.5	89.6
F508del / Non renseigné	37	0.5	34.7	31.5	82.5
Autre / Non renseigné	44	0.6	43.6	41.4	82.8
Non renseigné / Non renseigné	38	0.5	44.1	46.0	79.3
Sous Total (génotypes incomplets/non renseignés)	119	1.5	41	40.3	82.8
Total	7873	100			

Registre français de la mucoviscidose 2024

Tableau 4.4. Proportion et âge des patients avec une mutation gating ou non-sens

	Patients		Age (années)		
	Nombre	%	Moyen	Médian	Max
Au moins une mutation gating	216	2.7	27.4	25.0	74.0
Au moins une mutation non-sens	1211	15.4	24.9	23.1	82.8

Registre français de la mucoviscidose 2024

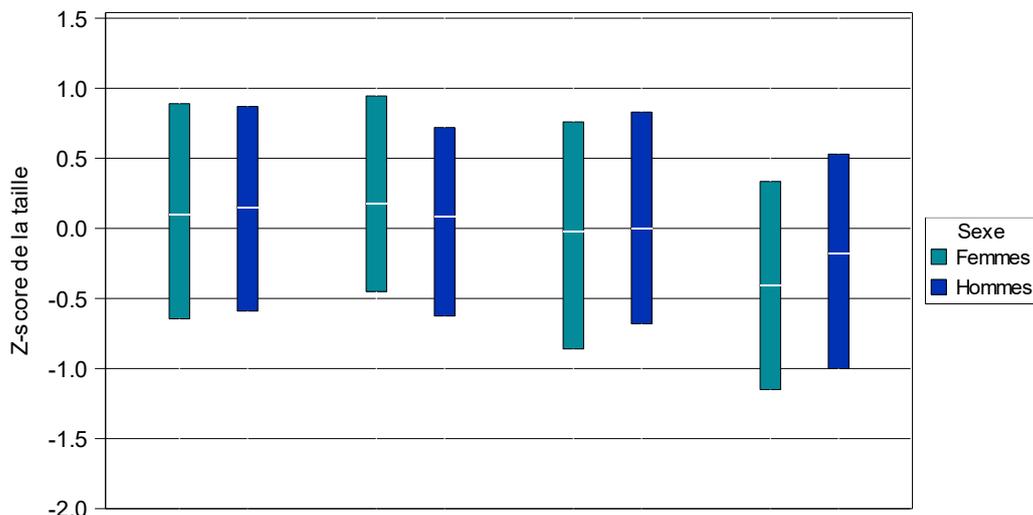
Les mutations gating sont des mutations n'empêchant pas la protéine CFTR de se fixer à la membrane cellulaire mais altérant la régulation du canal chlorure.

Les mutations non-sens entraînent l'absence de production de la protéine CFTR (codon stop).

5. Anthropométrie - hors patients greffés pulmonaires

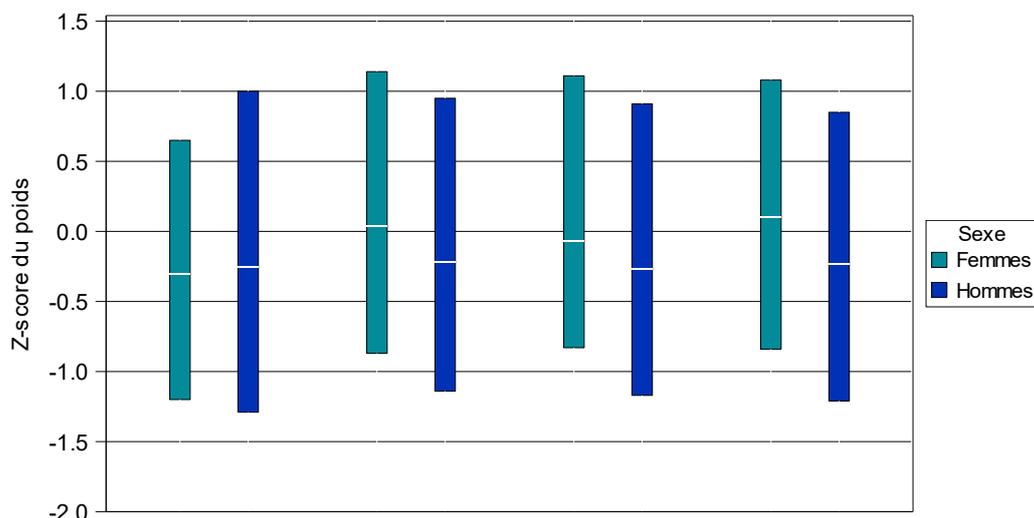
Taille et poids chez les enfants

Figure 5.1. Z-score de la taille** chez les enfants, par classe d'âge selon le sexe



Registre français de la mucoviscidose 2024

Figure 5.2. Z-score du poids** chez les enfants, par classe d'âge selon le sexe



Registre français de la mucoviscidose 2024

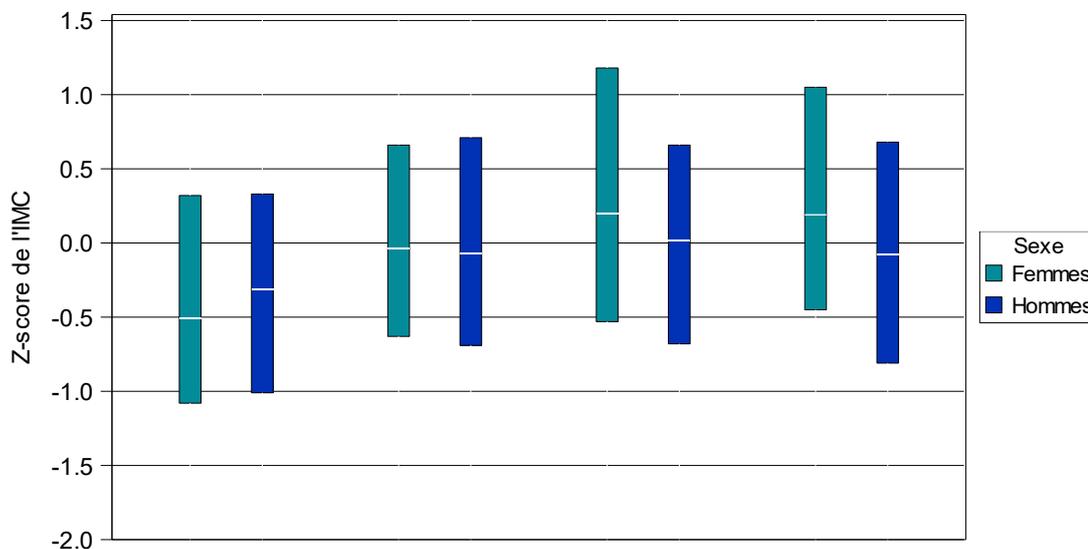
**Voir note explicative page suivante

Les tableaux récapitulatifs sur l'ensemble des patients (y compris les greffés) sont en annexe 2.

5. Anthropométrie – hors patients greffés pulmonaires

■ Indice de corpulence (IMC) chez les enfants

Figure 5.3. Z-score de l'IMC chez les enfants, par classe d'âge selon le sexe



Classes d'âge (années)		00-04	05-09	10-14	15-19	Total
Moyenne	Femmes	-0.36	0.12	0.37	0.38	0.18
	Hommes	-0.29	0.07	0.13	0.06	0.01
Médiane	Femmes	-0.51	-0.04	0.20	0.19	0.03
	Hommes	-0.31	-0.07	0.02	-0.08	-0.10
Z-score de l'IMC >=0 (%)	Femmes	33.1	49.7	57.4	59.2	51.7
	Hommes	38.6	46.8	52.1	49.6	47.4

Registre français de la mucoviscidose 2024

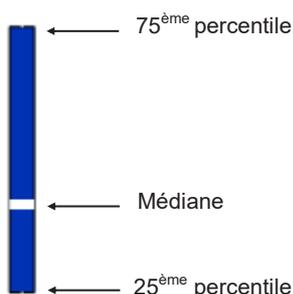
Le Z-score correspond à la variable anthropométrique centrée et réduite ($Z = \frac{\text{mesure} - \text{moyenne}}{\text{écart-type}}$), ajustée sur le sexe et l'âge, la moyenne et l'écart-type étant issus ici de la population française de référence de même sexe et âge que le sujet. Cet indice caractérise l'écart à la norme et tout retard statural et/ou pondéral se traduit par un score négatif.

- Les Z-scores de la taille et du poids ont été calculés par rapport à la population de référence française (Sempé M., 1997, *Auxologie – Méthode et séquences*, Méditations, Lyon, 205 p).

- Les Z-scores de l'indice de corpulence ont été calculés par rapport à la population de référence française (Rolland-Cachera MF *et al.* A. Body Mass Index variations: centiles from birth to 87 years. *Eur J Clin Nutr* 1991;45:13-21).

Note explicative des figures pages 22 à 25

Ces figures sont la représentation graphique des z-scores d'anthropométrie et de spirométrie. Pour chaque classe d'âge et de sexe, le trait blanc est la médiane, et les extrémités de la barre sont le 25^{ème} et le 75^{ème} percentile.

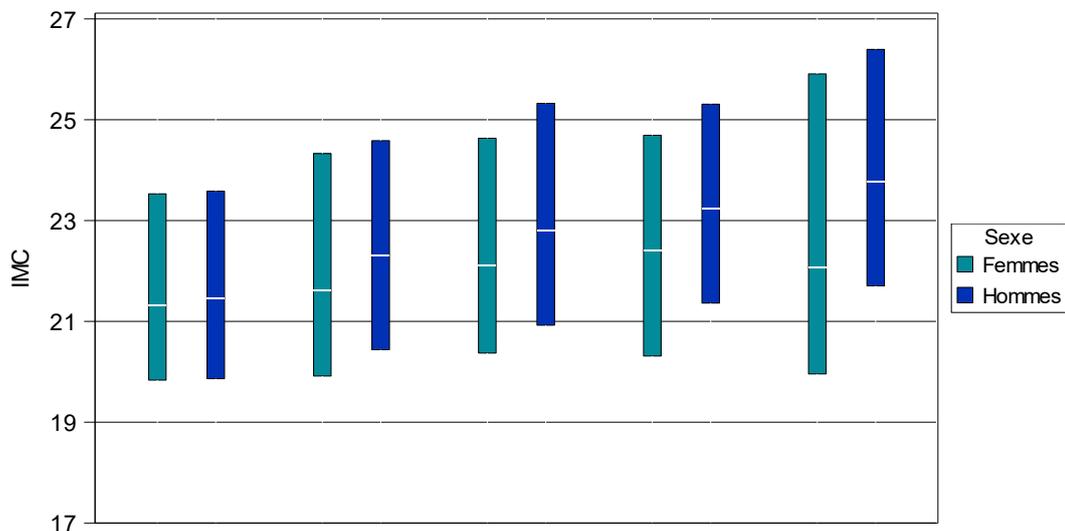


Les tableaux récapitulatifs sur l'ensemble des patients (y compris les greffés) sont en annexe 2.

5. Anthropométrie – hors patients greffés pulmonaires

■ Indice de corpulence (IMC) chez les adultes

Figure 5.4. Valeurs de l'IMC chez les adultes, par classe d'âge selon le sexe



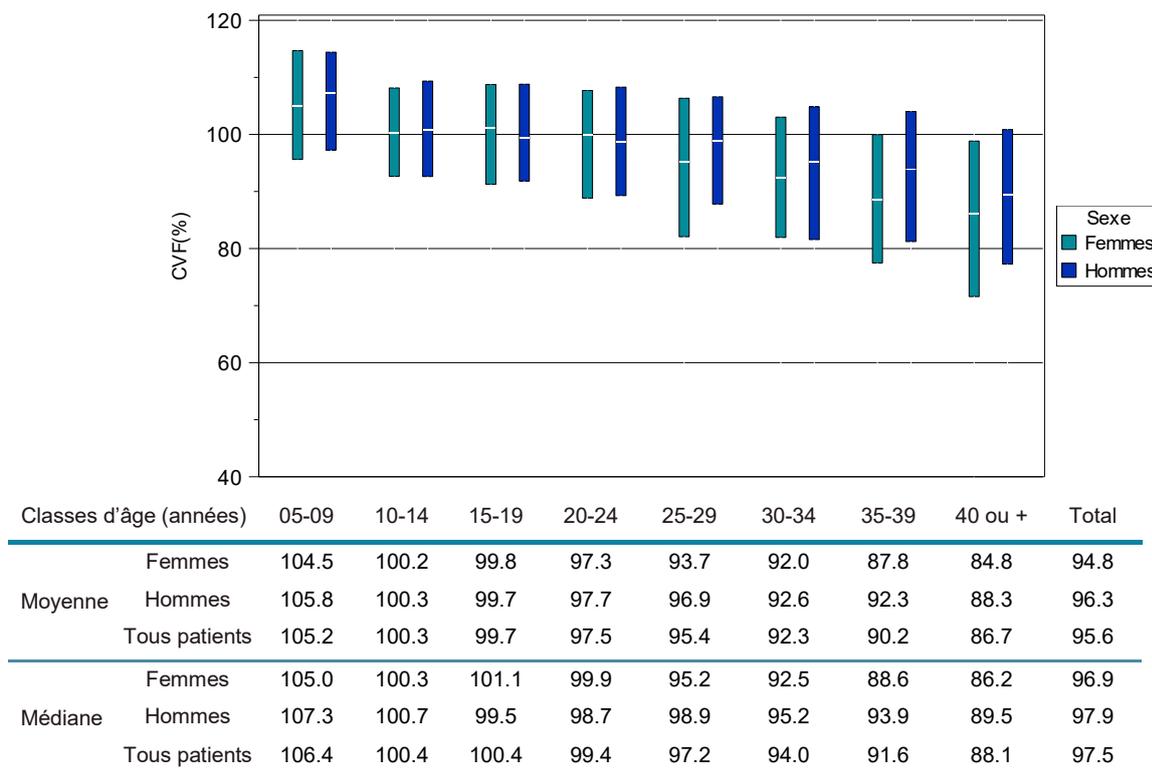
Classes d'âge (années)		20-24	25-29	30-34	35-39	40 ou +	Total
Moyenne	Femmes	22.1	22.5	22.8	23.1	23.4	22.8
	Hommes	22.0	22.8	23.3	23.6	24.3	23.2
Médiane	Femmes	21.3	21.6	22.1	22.4	22.1	21.9
	Hommes	21.5	22.3	22.8	23.2	23.8	22.7
IMC ≥ 22 (%)	Femmes	42.3	46.4	51.5	55.4	51.6	49.0
IMC ≥ 23 (%)	Hommes	29.0	40.8	48.2	53.7	59.7	46.7
IMC < 18.5 (%)	Femmes	10.2	10.4	8.8	6.0	8.2	8.9
	Hommes	11.4	6.4	4.9	4.8	3.2	6.1

Registre français de la mucoviscidose 2024

Les tableaux récapitulatifs sur l'ensemble des patients (y compris les greffés) sont en annexe 2.

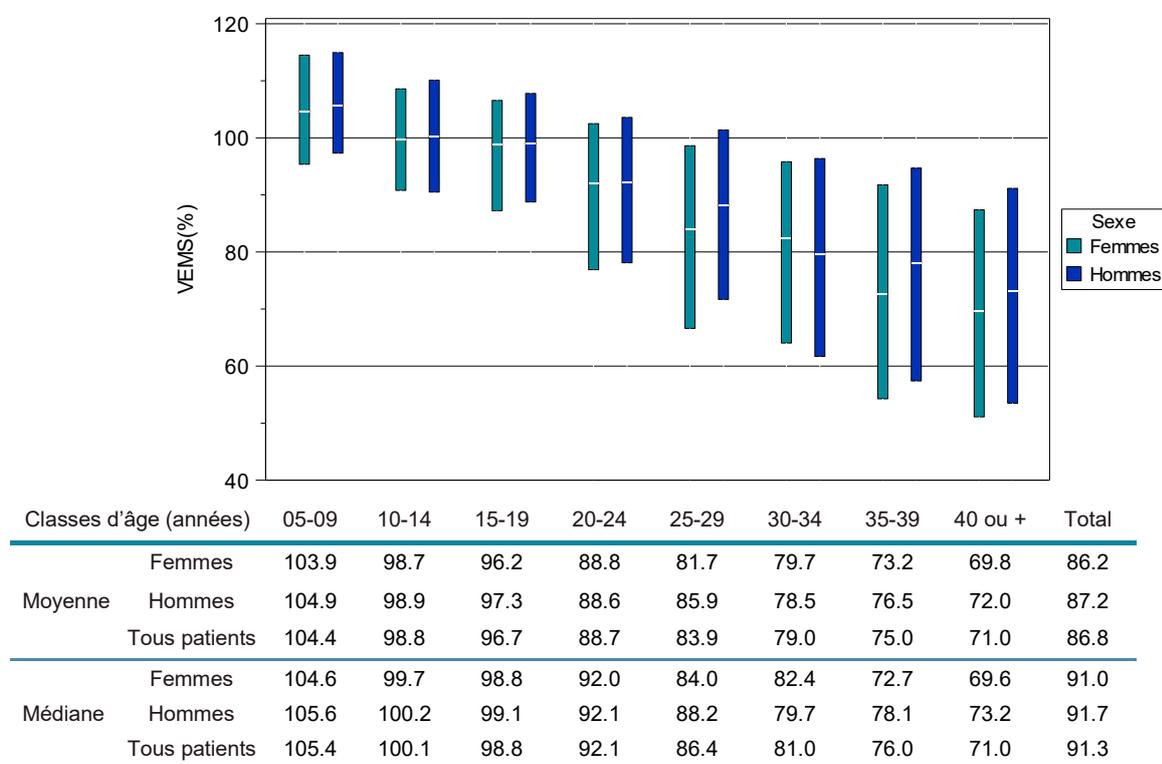
6. Spirométrie

Figure 6.1. CVF (%)*, par classe d'âge selon le sexe - hors patients greffés pulmonaires



Registre français de la mucoviscidose 2024

Figure 6.2. VEMS (%)*, par classe d'âge selon le sexe - hors patients greffés pulmonaires



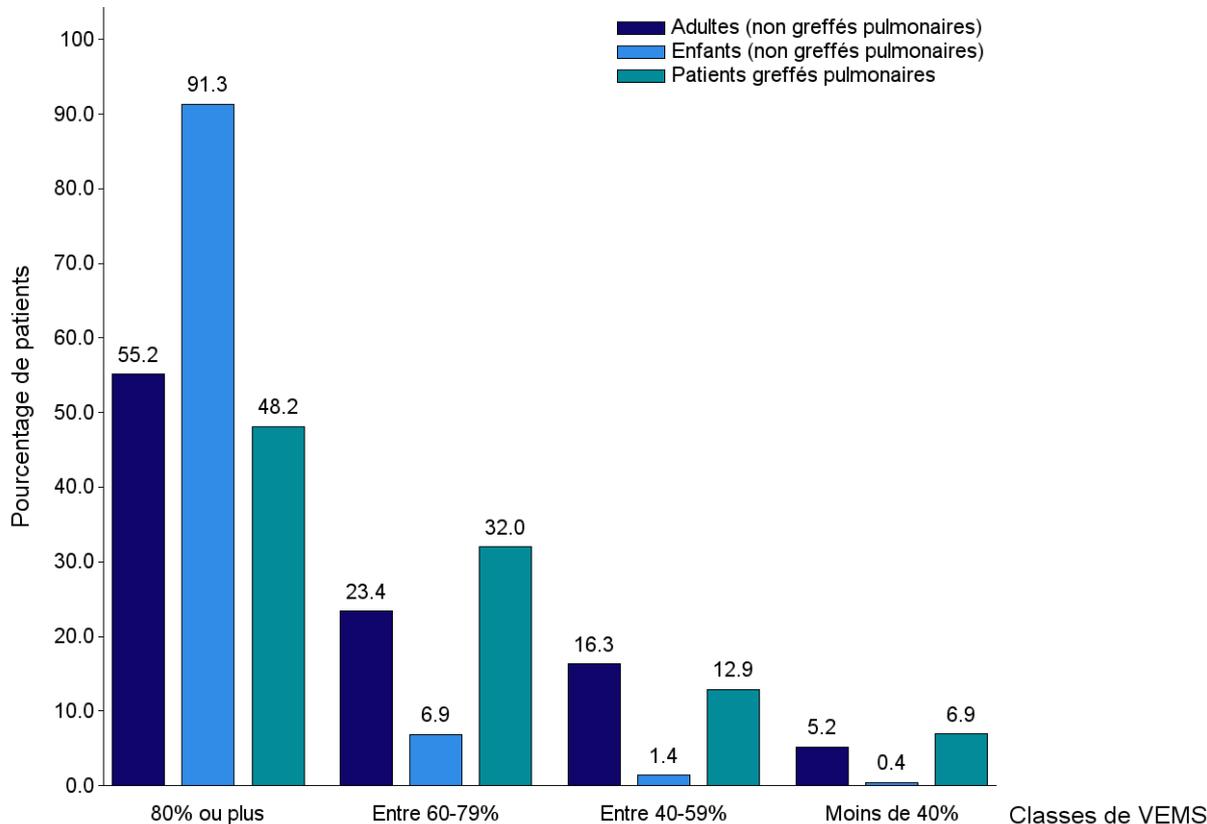
Registre français de la mucoviscidose 2024

La réalisation des épreuves fonctionnelles respiratoires nécessite une participation qui n'est pas toujours acquise avant 6 ans. La capacité vitale forcée (CVF) et le volume expiratoire maximal en 1 seconde (VEMS) sont exprimés en % de la valeur théorique (Quanjer PH *et al.* Multi-ethnic reference values for spirometry for the 3-95-yr age range: the global lung function 2012 equations. Eur Respir J. 2012;40(6):1324–1343).

6. Spirométrie

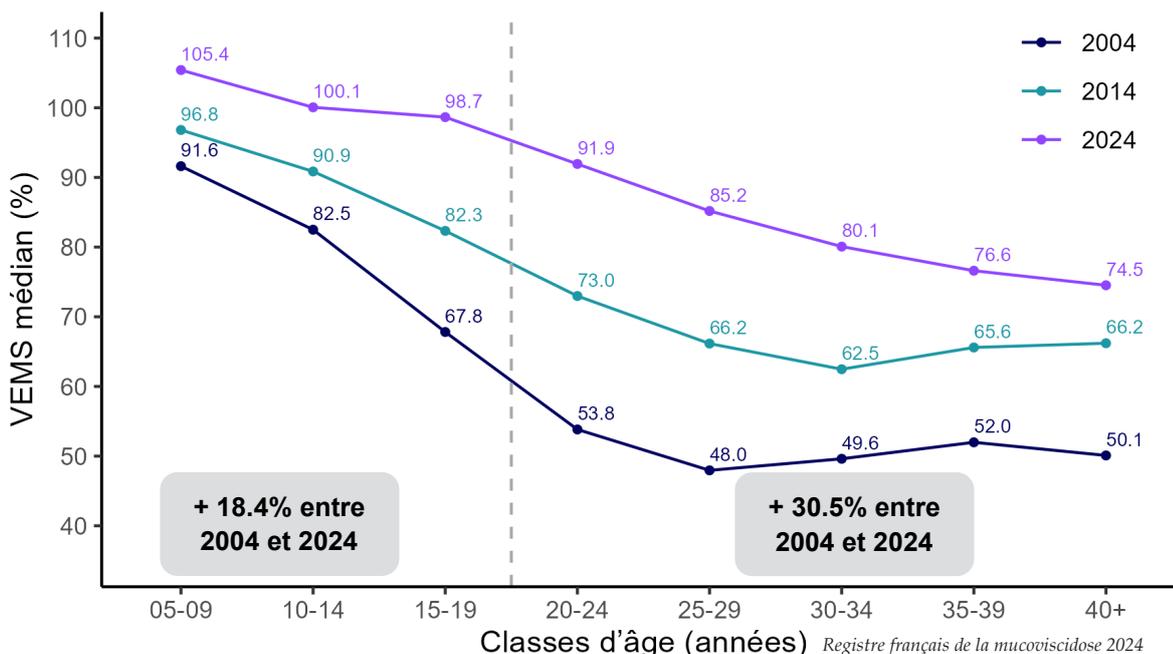
Figure 6.3. Répartition des classes de VEMS (%)

Les valeurs du VEMS (%) ont été distribuées en quatre classes « fonctionnelles » correspondant à différents degrés d'obstruction bronchique.



Registre français de la mucoviscidose 2024

Figure 6.4. VEMS (%) médians par âge, en 2004, 2014 et 2024 - tous patients



Registre français de la mucoviscidose 2024

Le VEMS (%) collecté était le dernier de l'année de 1992 à 2010 et le meilleur de l'année à partir de 2011. Le VEMS médian des patients de 6 à 19 ans était de 82.6% en 2004 et 101% en 2024. Il était de 50.8% en 2004 et 81.3% en 2024 pour les 20 ans et plus. Une analyse complémentaire comparant les valeurs de VEMS des transplantés pulmonaires à celles de la population générale est disponible en annexe 2.

7. Microbiologie

Tableau 7.1. Examens cyto bactériologiques des crachats / Examens microbiologiques

Patients ayant eu au moins un examen	N	Proportion (%)
Tous patients	6246	79.3%
Enfants	2602	96.4 %
Adultes	3644	70.4 %

Registre français de la mucoviscidose 2024

En 2024, 79.3% des patients ont eu au moins un ECBC et/ou prélèvement de gorge. Parmi les patients n'ayant pas eu d'examen (N=1627) dans l'année, 35.5% d'entre eux étaient porteurs d'un greffon pulmonaire.

Tableau 7.2. Répartition des germes respiratoires

	Classes d'âge (années)									Total	%*
	00-04	05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40+		
Effectif total	596	753	778	973	897	843	744	739	1550	7873	
Patients ayant eu au moins un examen - N (%)	577 (96.8%)	731 (97.1%)	741 (95.2%)	905 (93.0%)	688 (76.7%)	600 (71.2%)	522 (70.2%)	491 (66.4%)	991 (63.9%)	6246	79.3 %
Flore normale	165	227	193	231	138	112	84	80	184	1414	18.0 %
<i>Pseudomonas aeruginosa</i> , dont :	86	54	65	147	167	201	219	220	493	1652	21.0 %
- <i>P. aeruginosa</i> chronique	9	7	27	74	111	141	170	176	362	1077	13.7 %
Staphylocoque, dont :	348	453	538	650	470	387	283	262	424	3815	48.5 %
- <i>Staph. meti S</i>	336	443	526	638	454	369	260	237	383	3646	46.3 %
- <i>Staph. meti S</i> chronique	138	193	289	348	348	273	178	164	266	2197	27.9 %
- <i>Staph. meti R</i>	18	16	17	11	17	19	20	32	35	185	2.3 %
- <i>Staph. meti R</i> chronique	3	7	6	4	8	12	16	21	27	104	1.3 %
<i>Achromobacter spp.</i>	10	17	19	36	39	30	34	32	53	270	3.4 %
<i>Burkholderia cepacia</i> , dont :	3	5	10	10	10	9	13	10	19	89	1.1 %
- <i>B. cepacia</i> chronique	2	1	5	7	5	6	9	9	12	56	0.7 %
<i>Stenotrophomonas maltophilia</i>	67	39	48	45	37	32	25	30	47	370	4.7 %
<i>Haemophilus influenzae</i>	153	157	98	108	107	86	89	73	99	970	12.3 %
Pneumocoque	64	43	30	13	3	2	4	12	14	185	2.3 %
Entérobactérie	73	18	24	29	47	48	55	40	82	416	5.3 %

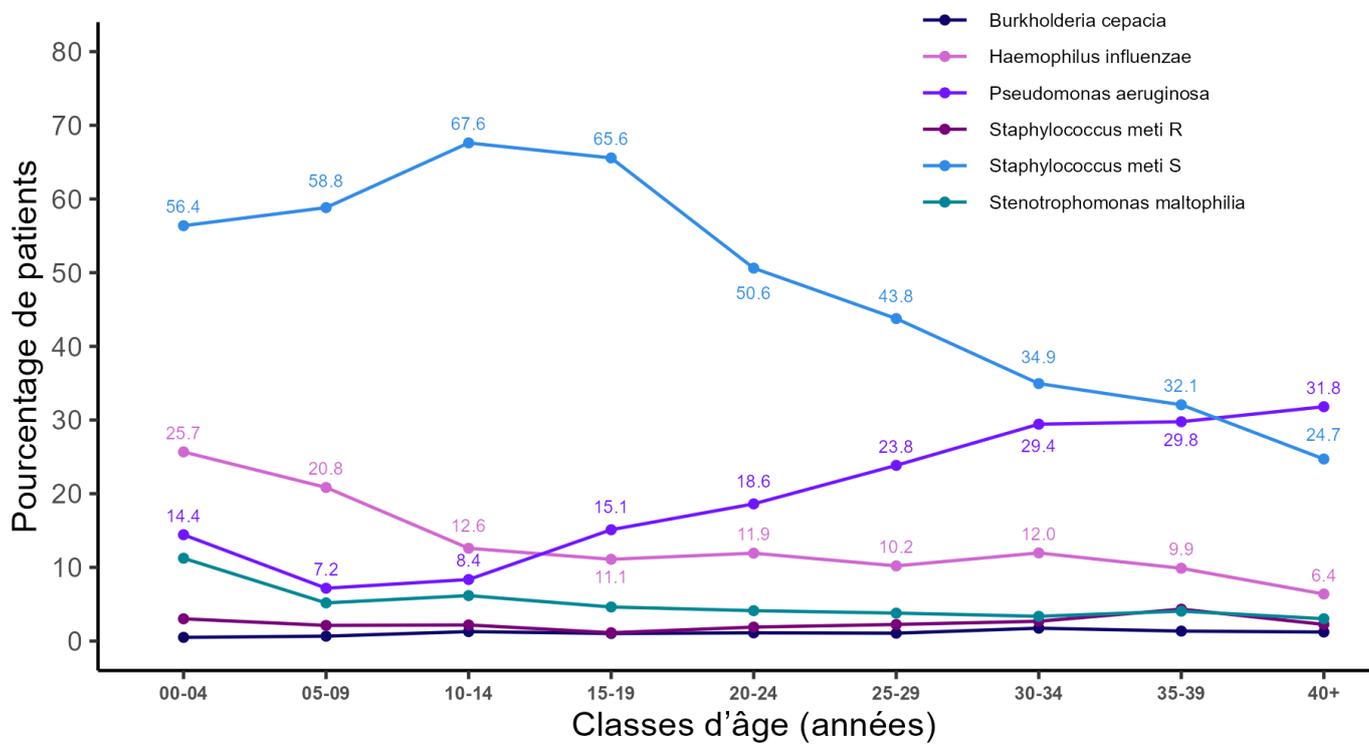
Registre français de la mucoviscidose 2024

* Pourcentage par rapport à l'effectif total

Colonisation chronique : plus de 50% des prélèvements positifs lors des 12 derniers mois (avec au moins 4 prélèvements pendant cette période).

7. Microbiologie

Figure 7.1. Bactéries cliniquement importantes



Registre français de la mucoviscidose 2024

Pourcentage par rapport à l'effectif total de chaque classe d'âge.

Tableau 7.3. Espèces de Bcc (Complexe Burkholderia cepacia)

	Classes d'âge (années)									Total	%*
	00-04	05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40+		
Effectif total	596	753	778	973	897	843	744	739	1550	7873	
Patients colonisés par Bcc	3	5	10	10	10	9	13	10	19	89	
B. multivorans	.	1	3	3	2	4	4	4	7	28	31.5 %
B. cenocepacia	.	2	1	.	.	.	1	2	3	9	10.1 %
B. cepacia	2	1	2	2	4	1	3	3	5	23	25.8 %
B. vietnamiensis	1	.	1	.	.	2	2.2 %
B. contaminans	.	.	1	1	1.1 %
Bcc6	.	.	1	1	1.1 %
B. gladioli	.	1	2	4	3	2	2	1	1	16	18.0 %
Burkholderia autres	1	.	.	.	1	1.1 %
Non identifié	1	.	.	1	.	1	2	.	3	8	9.0 %

Registre français de la mucoviscidose 2024

* Pourcentage par rapport au nombre de patients colonisés par Bcc

7. Microbiologie

Figure 7.2. Répartition des germes respiratoires en 2014 et 2024

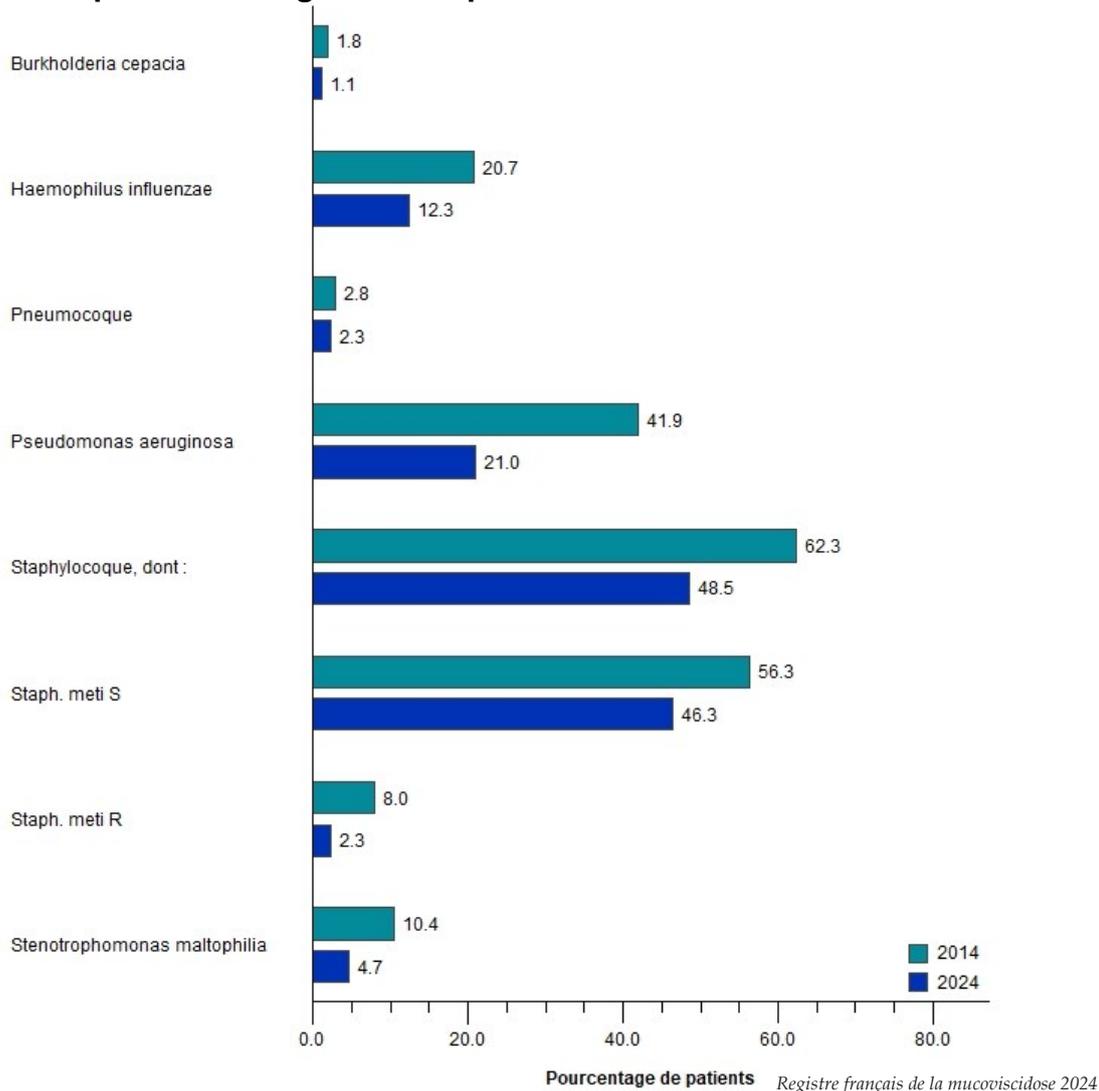
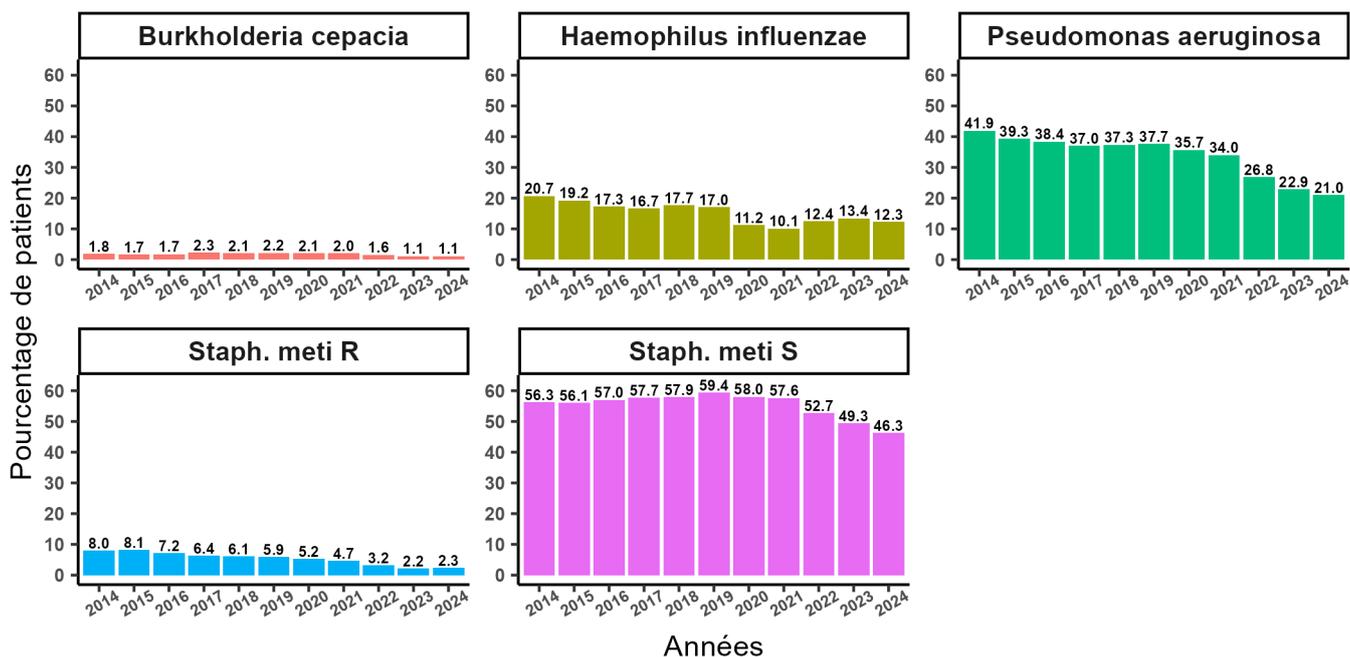


Figure 7.3. Répartition des germes respiratoires, évolution entre 2014 et 2024



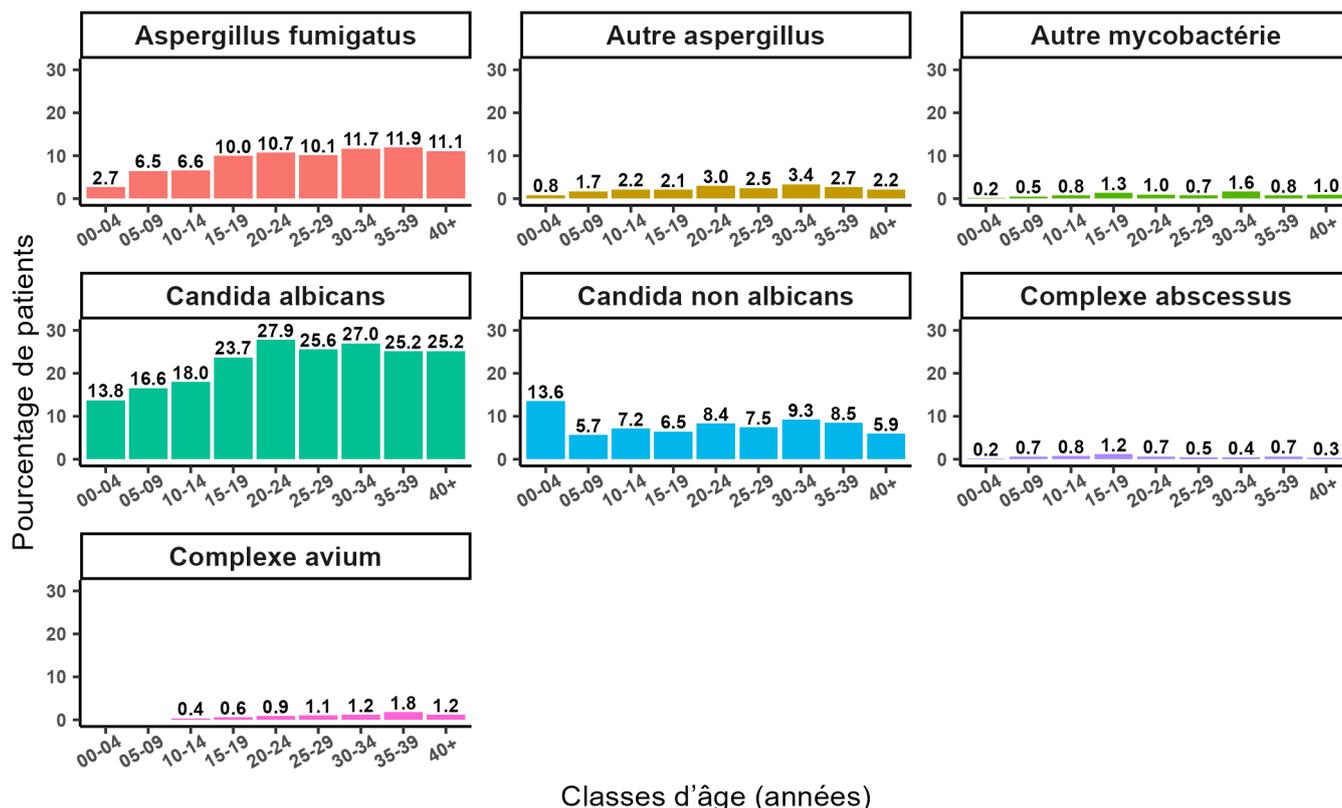
7. Microbiologie

Tableau 7.4. Répartition des éléments fongiques, mycobactéries et virus respiratoires

	Classes d'âge (années)									Total	%
	00-04	05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40+		
Effectif total	596	753	778	973	897	843	744	739	1550	7873	
Aspergillus fumigatus	16	49	51	97	96	85	87	88	172	741	9.4
Autre aspergillus	5	13	17	20	27	21	25	20	34	182	2.3
Candida albicans	82	125	140	231	250	216	201	186	391	1822	23.1
Candida non albicans	81	43	56	63	75	63	69	63	92	605	7.7
Recherche de mycobactérie	186	312	368	445	400	376	342	328	635	3392	43.1
- Complexe abscessus	1	5	6	12	6	4	3	5	5	47	0.6
- Complexe avium	.	.	3	6	8	9	9	13	18	66	0.8
- Autre mycobactérie	1	4	6	13	9	6	12	6	15	72	0.9
Recherche de virus	192	171	134	161	103	100	107	104	265	1337	17.0
- Coronavirus	26	22	15	16	21	16	19	18	49	202	2.6
- Grippe A	16	9	15	17	14	10	18	14	31	144	1.8
- Grippe B	.	.	2	2	.	1	.	2	2	9	0.1

Registre français de la mucoviscidose 2024

Figure 7.4. Eléments fongiques, mycobactérie et virus respiratoires



Registre français de la mucoviscidose 2024

8. Éléments de morbidité

■ Respiratoire

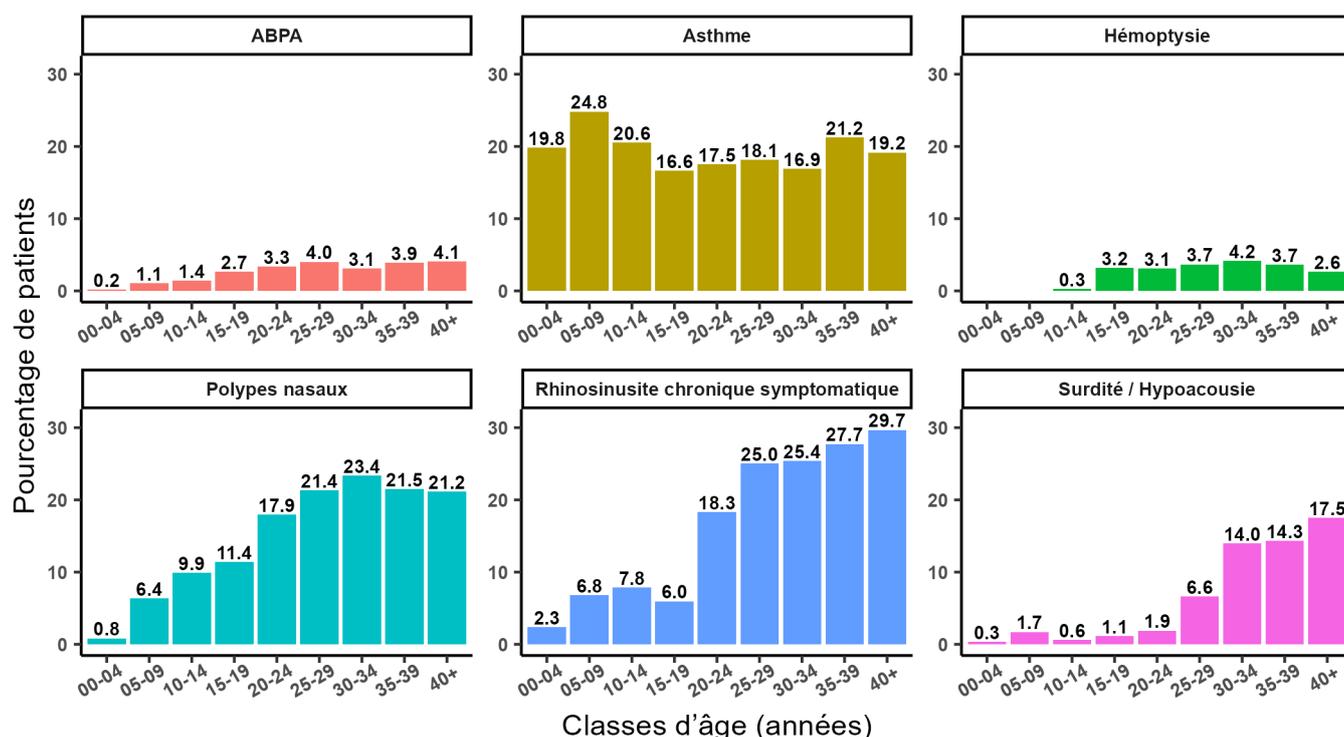
Tableau 8.1. Répartition des pathologies respiratoires et ORL

	Classes d'âge (années)									Total	%
	00-04	05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40+		
Effectif total	596	753	778	973	897	843	744	739	1550	7873	
Pneumothorax	.	1	1	.	1	2	1	2	5	13	0.2
Hémoptysie	.	.	2	31	28	31	31	27	41	191	2.4
ABPA	1	8	11	26	30	34	23	29	63	225	2.9
Autre forme d'aspergillose (non ABPA)	2	.	6	6	4	10	9	7	15	59	0.7
HTAP	.	1	.	1	1	1	2	3	11	20	0.3
Asthme	118	187	160	162	157	153	126	157	297	1517	19.3
Polypes nasaux	5	48	77	111	161	180	174	159	328	1243	15.8
Rhinosinusite chronique symptomatique	14	51	61	58	164	211	189	205	460	1413	17.9
Surdité / Hypoacousie	2	13	5	11	17	56	104	106	271	585	7.4

Registre français de la mucoviscidose 2024

Figure 8.1. Pathologies respiratoires et ORL

Pourcentages par rapport à l'effectif de chaque classe d'âge.



Registre français de la mucoviscidose 2024

8. Éléments de morbidité

■ Digestive et hépatique

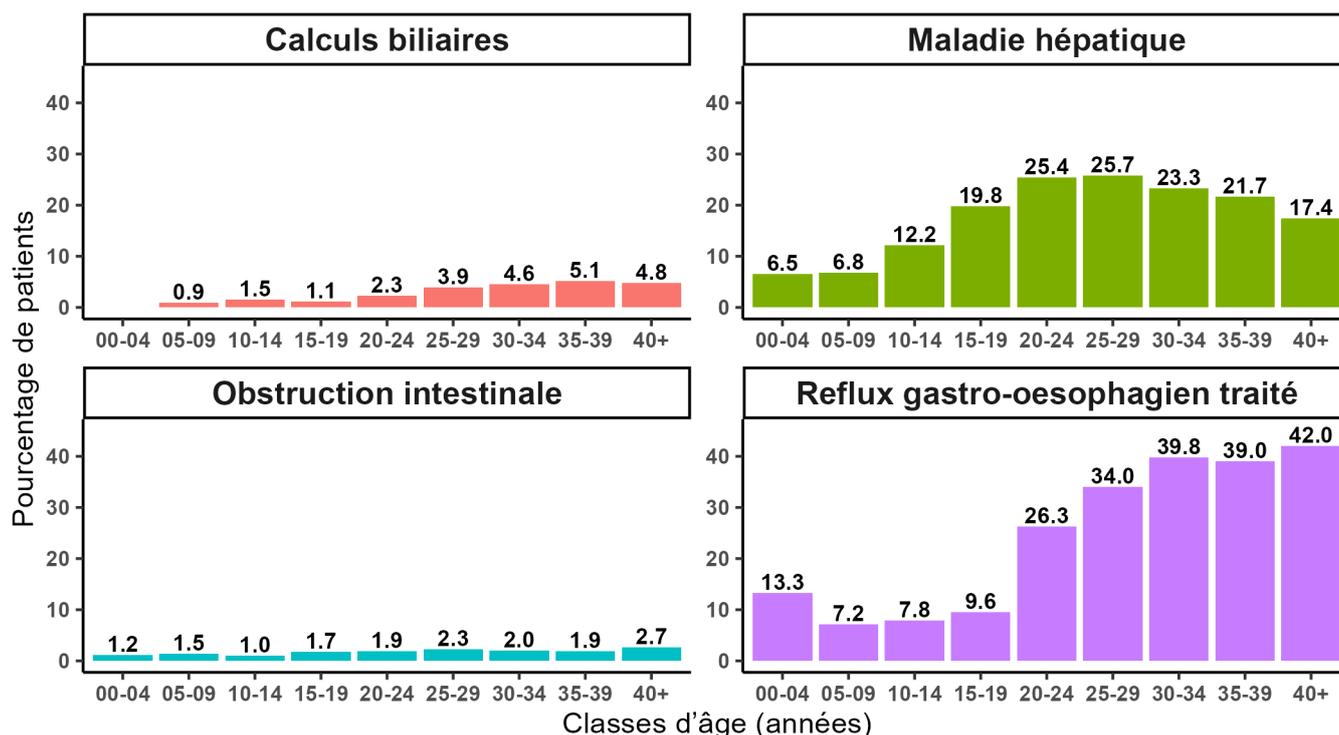
Tableau 8.2. Répartition des pathologies digestives et hépatiques

	Classes d'âge (années)									Total	%
	00-04	05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40+		
Effectif total	596	753	778	973	897	843	744	739	1550	7873	.
Fonction pancréatique exocrine anormale	472	564	602	764	728	713	629	608	1119	6199	78.7
Reflux gastro-oesophagien traité	79	54	61	93	236	287	296	288	651	2045	26.0
Maladie hépatique	39	51	95	193	228	217	173	160	270	1426	18.1
- Sans cirrhose	36	40	75	133	178	156	134	114	198	1064	13.5
- Cirrhose avec hypertension portale	.	5	9	25	24	31	12	14	13	133	1.7
- Cirrhose sans hypertension portale	.	2	3	23	18	21	17	17	35	136	1.7
Hémorragie digestive	.	.	.	2	.	1	2	2	4	11	0.1
Calculs biliaires	.	7	12	11	21	33	34	38	75	231	2.9
Obstruction intestinale	7	11	8	17	17	19	15	14	42	150	1.9
Pancréatite aiguë	2	.	5	4	4	8	11	10	28	72	0.9

Registre français de la mucoviscidose 2024

Figure 8.2. Pathologies digestives et hépatiques

Pourcentages par rapport à l'effectif de chaque classe d'âge.



Registre français de la mucoviscidose 2024

8. Éléments de morbidité

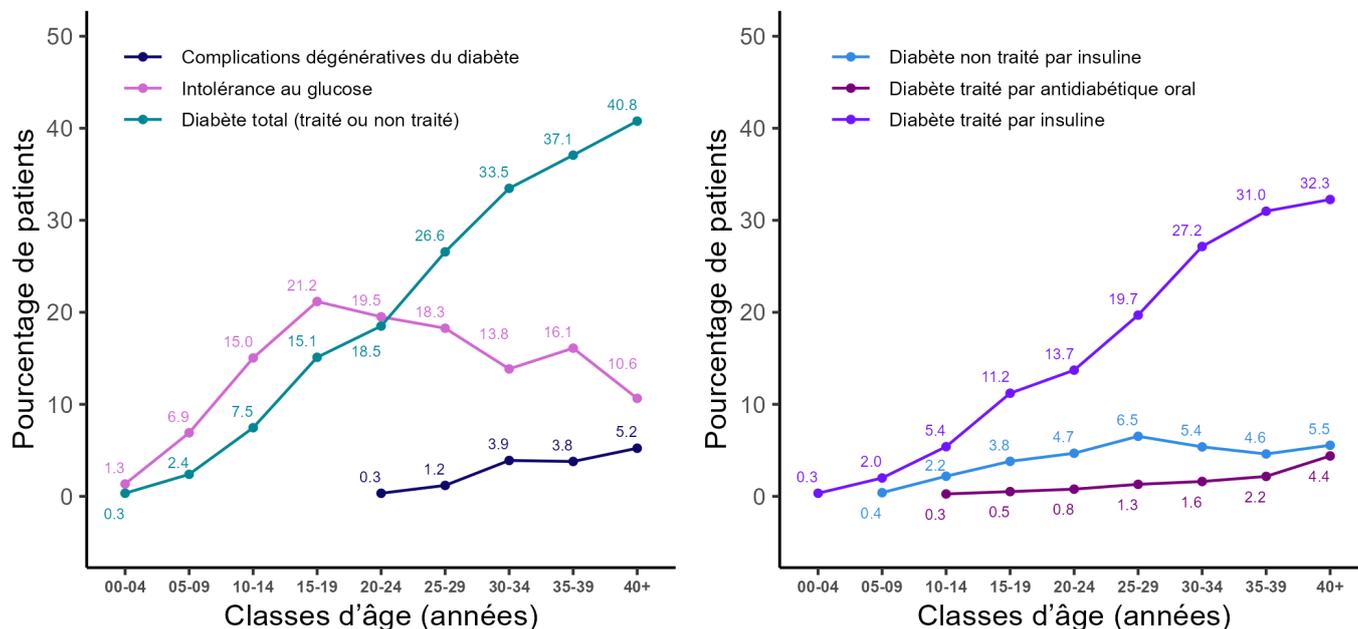
■ Métabolique

Tableau 8.3. Répartition des pathologies métaboliques

	Classes d'âge (années)									Total	%
	00-04	05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40+		
Effectif total	596	753	778	973	897	843	744	739	1550	7873	.
Test HGPO réalisé - N (%)	12 (2.0%)	69 (9.2%)	382 (49.1%)	388 (39.9%)	310 (34.6%)	272 (32.3%)	176 (23.7%)	196 (26.5%)	272 (17.5%)	2077	26.4
Intolérance au glucose	8	52	117	206	175	154	103	119	165	1099	14.0
Diabète total (traité ou non par insuline ou antidiabétique oral)*	2	18	58	147	166	224	249	274	632	1770	22.5
Diabète non traité par insuline	.	3	17	37	42	55	40	34	86	314	4.0
Diabète traité par antidiabétique oral	.	.	2	5	7	11	12	16	68	121	1.5
Diabète traité par insuline	2	15	42	109	123	166	202	229	500	1388	17.6
Complications dégénératives du diabète	3	10	29	28	81	151	1.9
- Rétinopathie	3	10	13	28	54	0.7
- Néphropathie	2	9	25	21	55	112	1.4
- Neuropathie	1	1	2	2	16	22	0.3
- Macroangiopathie diabétique	1	.	8	9	0.1
Insuffisance surrénalienne	1	1	1	3	12	12	18	28	42	118	1.5

Registre français de la mucoviscidose 2024

*La ligne « Diabète total (traité ou non par insuline ou antidiabétique oral) » comptabilise le nombre de patients ayant eu au moins un des trois types de diabète. Parmi les 1770 patients concernés, 2 patients ont présenté les trois formes de diabète en cours d'année.

Figure 8.3. Diabète et complications dégénératives du diabète
Pourcentages par rapport à l'effectif de chaque classe d'âge.


Registre français de la mucoviscidose 2024

8. Éléments de morbidité

■ Autre élément

Tableau 8.4. Répartition des autres éléments de morbidité

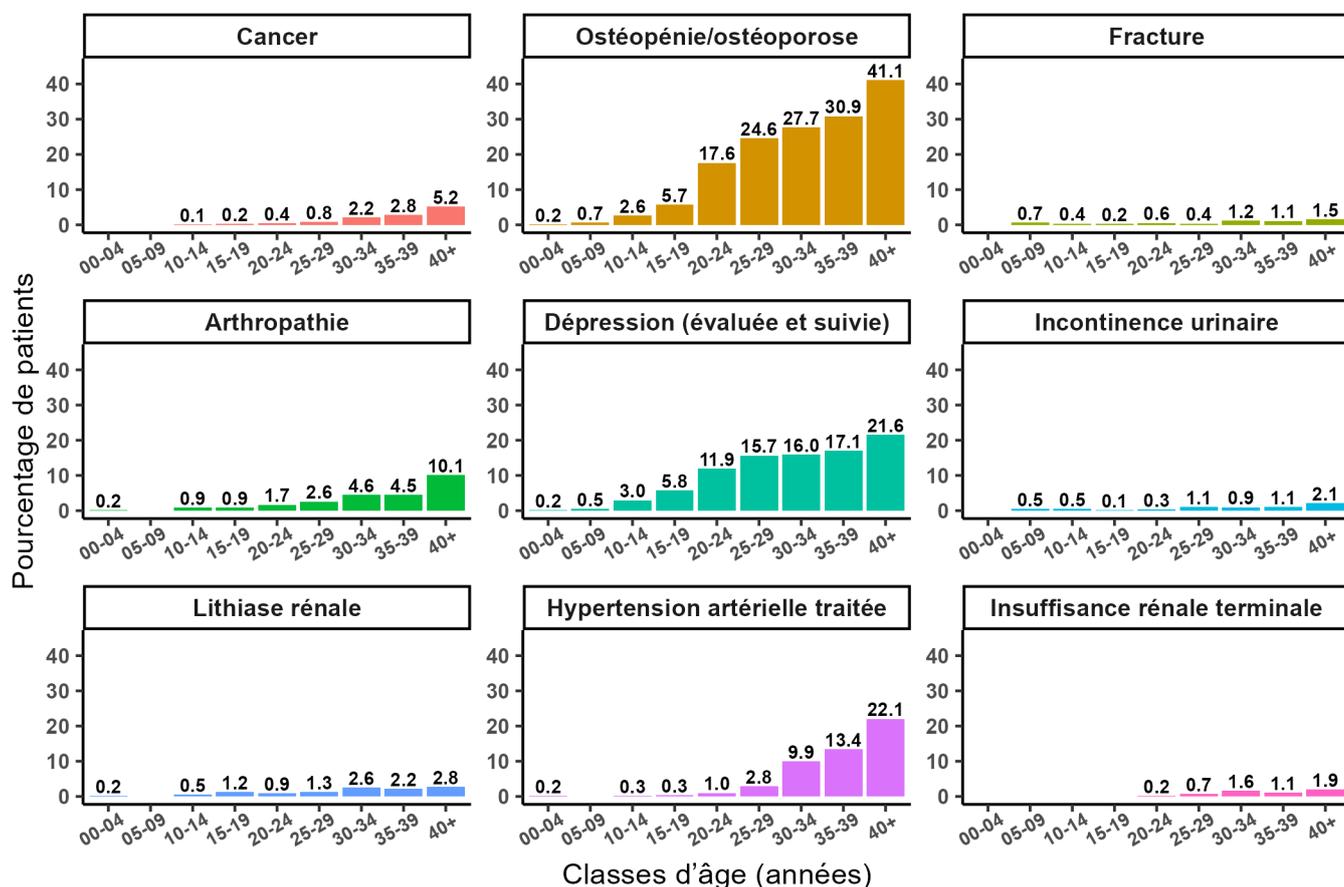
	Classes d'âge (années)									Total	%
	00-04	05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40+		
Effectif total	596	753	778	973	897	843	744	739	1550	7873	.
Cancer dont	.	.	1	2	4	7	16	21	80	131*	1.7
- tumeurs solides	.	.	.	1	1	2	10	7	48	69	52.7
- hémopathies	.	.	1	1	2	2	2	7	6	21	16.0
- tumeurs cutanées épithéliales	2	3	6	24	35	26.7
Ostéopénie / ostéoporose	1	5	20	55	158	207	206	228	637	1517	19.3
Fracture	.	5	3	2	5	3	9	8	24	59	0.7
Arthropathie	1	.	7	9	15	22	34	33	157	278	3.5
Incontinence urinaire	.	4	4	1	3	9	7	8	33	69	0.9
Lithiase rénale	1	.	4	12	8	11	19	16	43	114	1.4
Hypertension artérielle traitée	1	.	2	3	9	24	74	99	342	554	7.0
Insuffisance rénale terminale	2	6	12	8	30	58	0.7
Dépression (évaluée et suivie)	1	4	23	56	107	132	119	126	335	903	11.5

Registre français de la mucoviscidose 2024

* dont 81 chez les patients transplantés

Figure 8.4. Autres éléments de morbidité

Pourcentages par rapport à l'effectif de chaque classe d'âge.



Registre français de la mucoviscidose 2024

9. Transplantations et chirurgies

Tableau 9.1. Caractéristiques des patients sur liste d'attente et transplantés

Ont été inclus dans ce tableau les patients vus et/ou décédés en 2024.

	Toutes années confondues	2024
LISTE D'ATTENTE DE GREFFE		
	Tous inscrits ^(#)	Inscrits en 2024
Nombre de patients	47	22
Age moyen et écart-type (années)	34.2 ± 11	35.6 ± 10.6
Âges extrêmes (années)	7.58-60.4	11-52.8
Décédés sur liste d'attente	1	
TRANSPLANTATION		
	Tous greffés*	Transplantés en 2024
Nombre de patients	874	22
Patients porteurs de greffon pulmonaire	837	10
<u>Nombre de Greffes mono-organes*</u>		
- bi-poumons - N (%)	847 (96.9 %)	8 (36.4 %)
- foie - N (%)	36 (4.1 %)	2 (9.1 %)
- rein - N (%)	96 (11.0 %)	10 (45.5 %)
- bi-lobaire - N (%)		
- mono-pulmonaire - N (%)	7 (0.8 %)	
- îlots pancréatiques - N (%)	1 (0.1 %)	
- moelle osseuse - N (%)	1 (0.1 %)	
<u>Nombre de Greffes multi-organes* :</u>		
- cœur-poumon - N (%)	13 (1.5 %)	
- cœur-poumon / foie - N (%)		
- bi-poumons / foie - N (%)	29 (3.3 %)	2 (9.1 %)
- bi-poumons / rein - N (%)	7 (0.8 %)	
- bi-poumons / îlots de Langherans - N (%)	7 (0.8 %)	
- foie / mono-poumon - N (%)	1 (0.1 %)	
- foie / rein - N (%)	1 (0.1 %)	
- foie / pancréas - N (%)	1 (0.1 %)	
- foie / îlots pancréatiques - N (%)	1 (0.1 %)	
- rein / pancréas - N (%)	3 (0.3 %)	
Age moyen (années)	40.4	31.5
Écart-type	10.4	10
Âges extrêmes (années)	7.58-75.3	7.58-47.6
Décédés post-greffe	29	1

(#) Tous organes confondus et patients transplantés en 2024 inclus

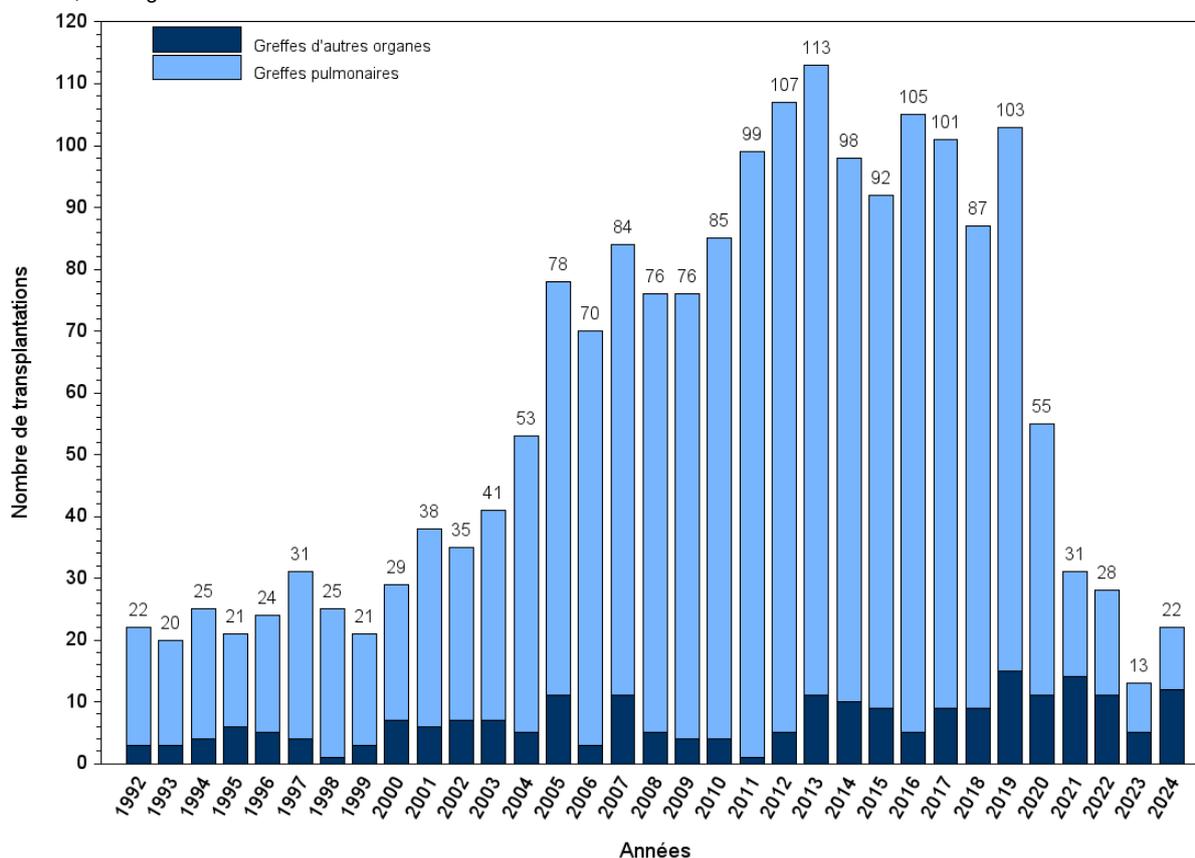
Registre français de la mucoviscidose 2024

*Le comptage est fait par organe et non par patient. Ainsi, un même patient est compté plusieurs fois, s'il a reçu plusieurs greffes au cours de sa vie. Par exemple, 156 patients ont eu 2 greffes ou plus, dont 69 ont eu au moins 2 greffes pulmonaires.

9. Transplantations et chirurgies

Figure 9.1. Nombre de transplantations par an, depuis 1992

Depuis 1992, 1908 greffes ont été réalisées.



Registre français de la mucoviscidose 2024

Tableau 9.2. Répartition des transplantations, évolution depuis 2010

Greffes	Années														
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024
Pulmonaires*	81	98	102	102	88	83	100	92	78	88	44	17	17	8	10
Autres organes	4	1	5	11	10	9	5	9	9	14	11	14	11	5	12

Registre français de la mucoviscidose 2024

* monopulmonaire, bi-lobaire, bipulmonaire, cœur-poumon, en greffes simples ou combinées.

Tableau 9.3. Répartition des chirurgies

	Type de chirurgies			
	Abdominale	Thoracique	ORL	Autre
Nombre de chirurgies réalisées en 2024	111	38	114	277

Registre français de la mucoviscidose 2024

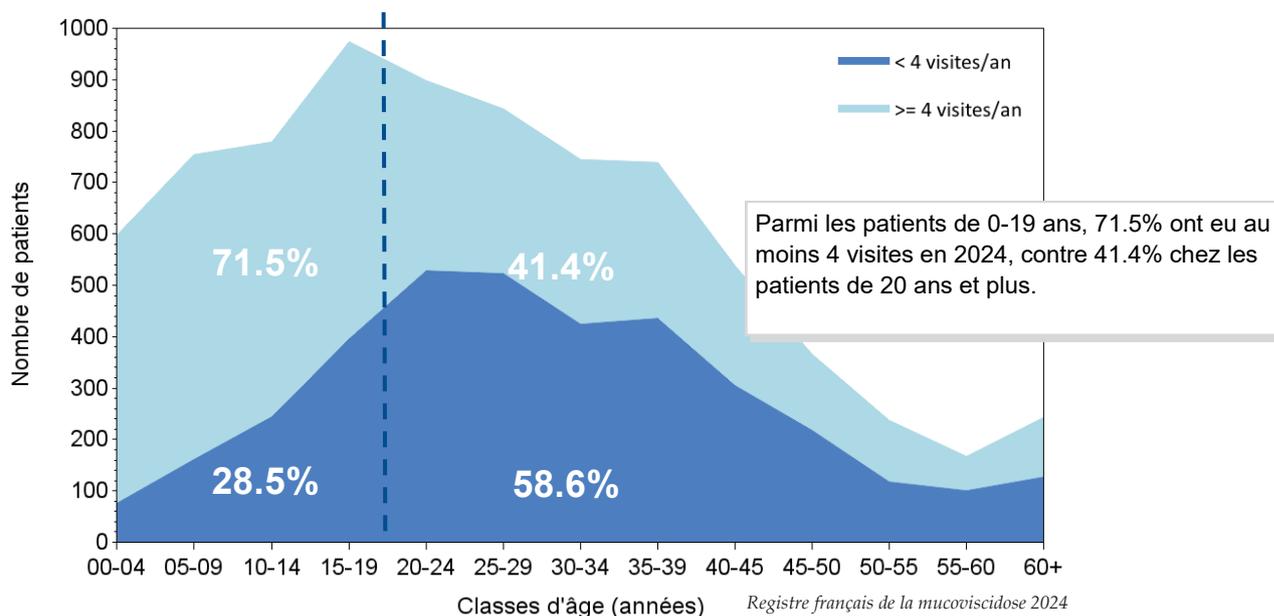
10. Consultations et hospitalisations

Tableau 10.1. Caractéristiques des visites

	Classes d'âge (années)									Total
	00-04	05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40+	
Effectif total	596	753	778	973	897	843	744	739	1550	7873
< 4 visites/an* - N (%)	78 (13.1 %)	162 (21.5%)	247 (31.7%)	398 (40.9%)	530 (59.1%)	525 (62.3%)	427 (57.4%)	438 (59.3%)	875 (56.5%)	3680 (46.7%)
≥ 4 visites/an* - N (%)	518 (86.9%)	591 (78.5%)	531 (68.3%)	575 (59.1%)	367 (40.9%)	318 (37.7%)	317 (42.6%)	301 (40.7%)	675 (43.5%)	4193 (53.3%)
Consultations										
Nombre de patients ayant eu au moins une consultation	258	261	227	310	396	377	392	353	767	3341
Médiane	3.0	2.0	2.0	2.0	2.0	2.0	2.0	2.0	2.0	2.0
Moyenne	3.4	2.9	2.6	2.6	2.7	2.5	3.0	2.7	3.1	2.9
Téléconsultations										
Nombre de patients ayant eu au moins une téléconsultation	57	60	65	92	73	98	75	77	135	732
Médiane	1.0	1.0	1.0	1.0	1.0	1.0	1.0	1.0	1.0	1.0
Moyenne	1.3	1.6	1.5	1.8	3.5	2.2	2.5	2.3	1.9	2.1
Hospitalisations de jour										
Nombre de patients ayant eu au moins une hospitalisation de jour	577	728	753	934	771	726	613	638	1292	7032
Médiane	5.0	4.0	4.0	3.0	3.0	2.0	2.0	2.0	2.0	3.0
Moyenne	4.7	3.9	3.6	3.4	2.8	2.6	2.6	2.7	2.7	3.2
Hospitalisations complètes										
Nombre de patients ayant eu au moins une hospitalisation complète	129	70	76	116	107	112	102	112	304	1128
Médiane	1.0	1.0	1.0	1.0	1.0	1.0	1.0	1.0	1.0	1.0
Moyenne	1.6	1.8	2.1	2.0	2.2	1.8	2.0	1.9	1.7	1.9
Jours (Médiane)	10.0	7.0	7.0	10.0	9.0	7.5	7.0	7.5	8.0	8.0
Jours (Moyenne)	17.2	14.3	16.9	16.9	20.0	15.6	17.2	16.5	14.3	16.2

Figure 10.1. Nombre de visites

Registre français de la mucoviscidose 2024



*Notes:

- Les visites correspondent aux consultations externes, hospitalisations de jour et hospitalisations complètes.
- Les moyennes et médianes sont calculées sur les populations de patients présentant au moins un des types de visites

11. Prise en charge thérapeutique

Cures d'antibiotiques – Voie d'abord

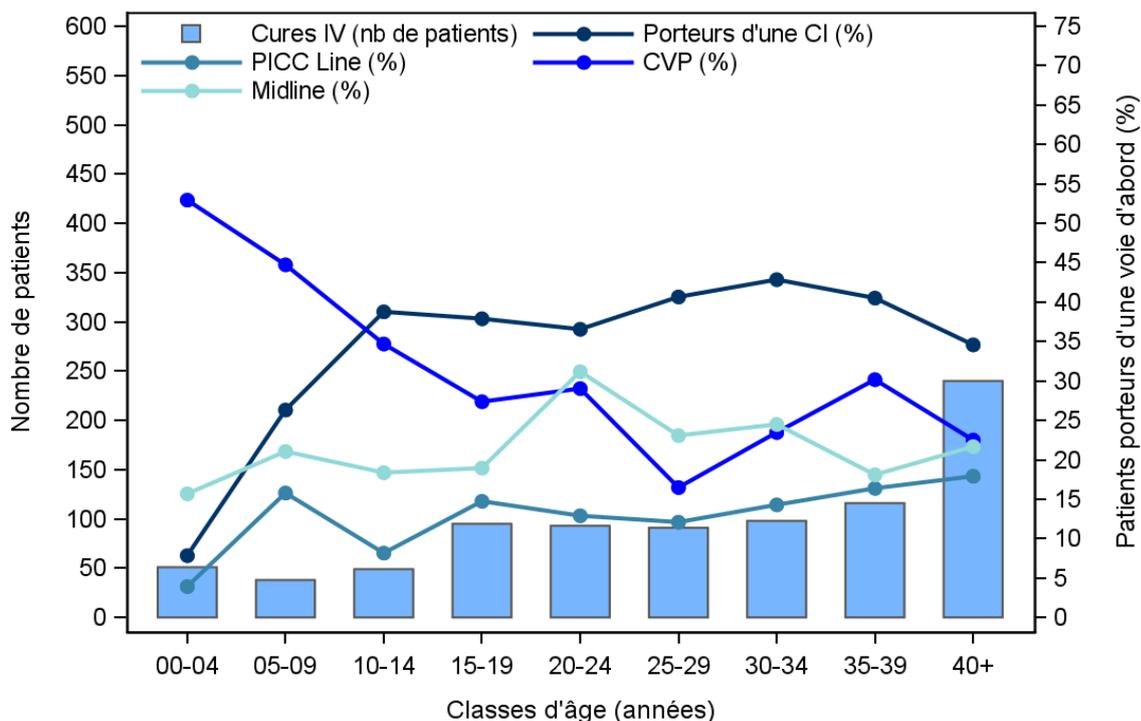
Tableau 11.1. Répartition des patients avec cures d'antibiotiques IV

	Classes d'âge (années)									Total
	00-04	05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40+	
Effectif total	596	753	778	973	897	843	744	739	1550	7873
Patients avec au moins une cure-N (%) , et porteurs de	51 (8.6%)	38 (5.1%)	49 (6.3%)	95 (9.8%)	93 (10.4%)	91 (10.8%)	98 (13.2%)	116 (15.7%)	240 (15.5%)	871 (11.1%)
- chambre implantable (CI)	4	10	19	36	34	37	42	47	83	312
- PICC Line	2	6	4	14	12	11	14	19	43	125
- cathéter veineux périphérique	27	17	17	26	27	15	23	35	54	241
- Midline	8	8	9	18	29	21	24	21	52	190
Nombre de cures réalisées	62	65	88	192	213	149	174	204	364	1511
Nombre de jours de cures* dont :	798	907	1726	3087	3121	2143	2643	3041	5204	22670
- à l'hôpital	663	469	845	1185	1258	647	847	694	1676	8284
- à domicile	135	410	871	1888	1681	1444	1747	2270	3482	13928
Nombre de patients avec chambre implantable (avec ou sans cure)	5	11	21	42	39	42	49	51	90	350

Registre français de la mucoviscidose 2024

* Parfois le lieu de la cure est inconnu

Figure 11.1. Patients ayant eu au moins une cure IV, dont patients porteurs d'une voie d'abord



Registre français de la mucoviscidose 2024

11. Prise en charge thérapeutique

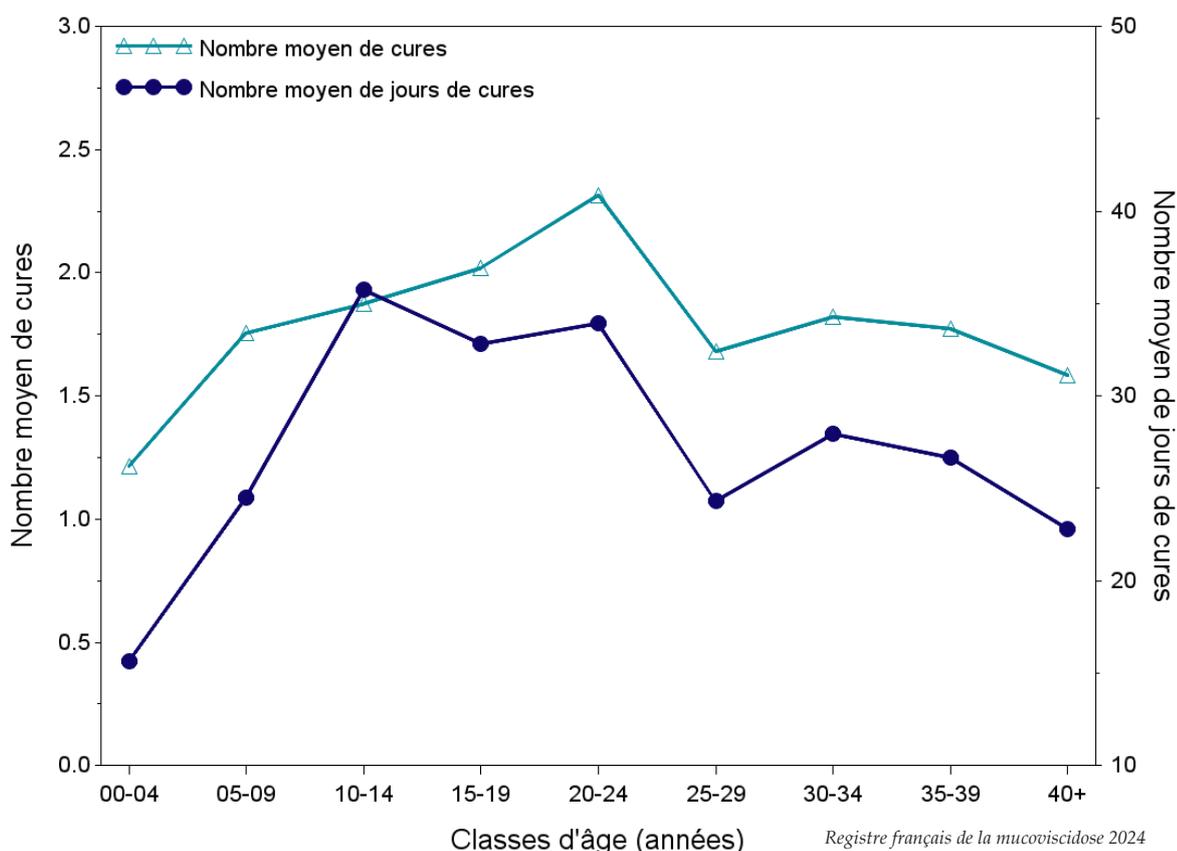
■ Cures d'antibiotiques par intra-veineuse (IV)

Tableau 11.2. Nombre de cures d'antibiotiques IV et de jours de cures par patient *

	Classes d'âge (années)									Total
	00-04	05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40+	
<i>Cures d'antibiotiques IV</i>										
Nb moyen	1.2	1.8	1.9	2.0	2.3	1.7	1.8	1.8	1.6	1.8
Ecart-type	0.5	1.2	1.4	1.2	1.8	1.1	1.6	1.5	1.0	1.3
<i>Jours de cures</i>										
Nb moyen	15.6	24.5	35.8	32.8	33.9	24.3	28.0	26.7	22.8	26.8
Ecart-type	7.3	20.6	53.2	30.9	31.9	16.6	27.7	30.2	16.0	26.9
Nb médian	14.0	15.0	21.0	27.0	22.0	15.0	14.0	14.0	14.5	15.0
1 ^{er} quartile (Q1)	13.0	14.0	14.0	14.0	14.0	14.0	14.0	14.0	14.0	14.0
3 ^{ème} quartile (Q3)	15.0	28.0	30.0	42.0	42.0	29.0	28.0	28.0	28.0	30.0

Registre français de la mucoviscidose 2024

Figure 11.2. Nombre de cures et de jours de cures d'antibiotiques IV par patient *



Registre français de la mucoviscidose 2024

* Parmi les patients avec au moins une cure.

11. Prise en charge thérapeutique

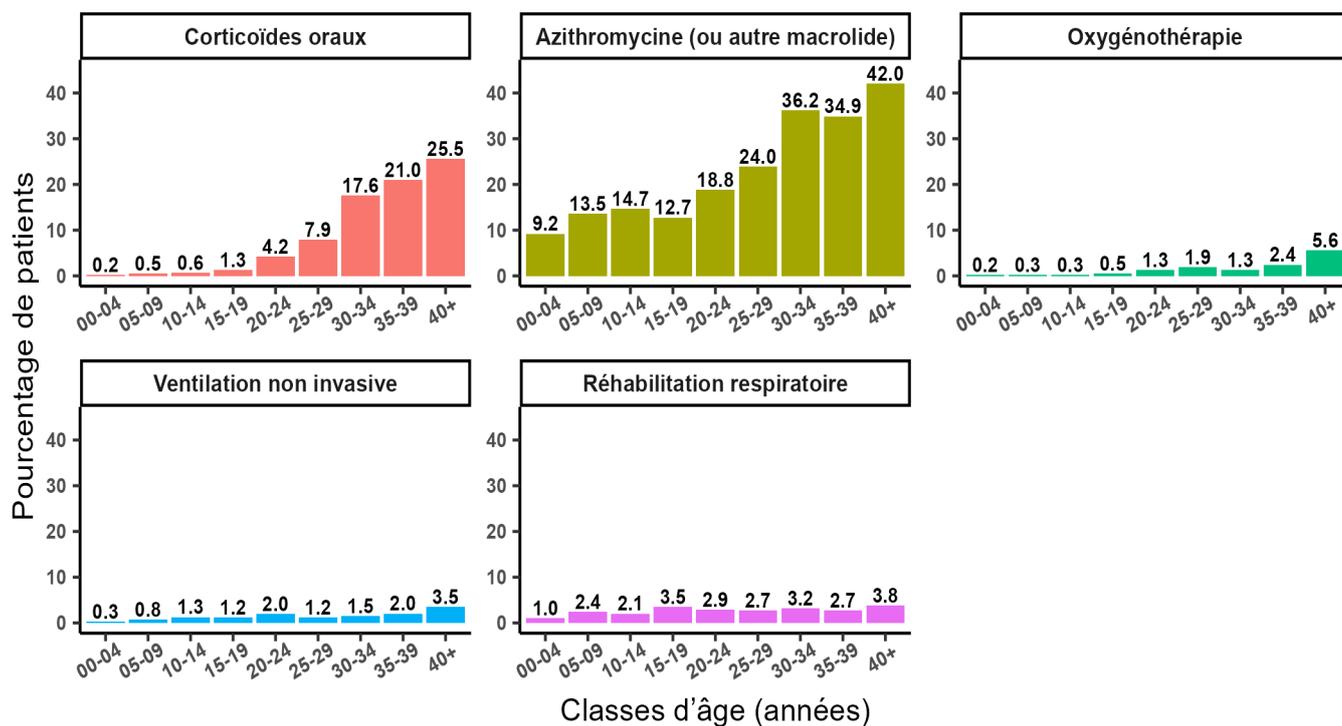
■ Respiratoire / Modulateurs du gène *CFTR*

Tableau 11.3. Thérapeutiques à visée respiratoire (≥ 3 mois)

	Classes d'âge (années)										Total	%
	00-04	05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40+			
Effectif total	596	753	778	973	897	843	744	739	1550	7873		
Aérosolthérapie*	336	513	533	598	590	588	513	532	1097	5300	67.3 %	
Corticoïdes oraux	1	4	5	13	38	67	131	155	396	810	10.3 %	
Azithromycine (ou autre macrolide)	55	102	114	124	169	202	269	258	651	1944	24.7 %	
Oxygénothérapie	1	2	2	5	12	16	10	18	87	153	1.9 %	
Ventilation non invasive	2	6	10	12	18	10	11	15	55	139	1.8 %	
Réhabilitation respiratoire	6	18	16	34	26	23	24	20	59	226	2.9 %	

Registre français de la mucoviscidose 2024

* Par nébulisation, spray et/ou poudre

Figure 11.3. Thérapeutiques à visée respiratoire (≥ 3 mois)


Registre français de la mucoviscidose 2024

11. Prise en charge thérapeutique

■ Respiratoire / Modulateurs du gène *CFTR*

Tableau 11.4a. Modulateurs du gène *CFTR*

	Classes d'âge (années)									Total
	00-04	05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40+	
Effectif total	596	753	778	973	897	843	744	739	1550	7873
Patients sous modulateurs - N (%)	314 (52.7%)	591 (78.5%)	634 (81.5%)	796 (81.8%)	721 (80.4%)	670 (79.5%)	518 (69.6%)	492 (66.6%)	878 (56.6%)	5614 (71.3%)
Ivacaftor - N (%)	12 (2%)	11 (1.5%)	9 (1.2%)	11 (1.1%)	11 (1.2%)	12 (1.4%)	8 (1.1%)	6 (0.8%)	20 (1.3%)	100 (1.3%)
Lumacaftor-ivacaftor - N (%)	53 (8.9%)	13 (1.7%)	2 (0.3%)	4 (0.4%)	5 (0.6%)	.	1 (0.1%)	1 (0.1%)	3 (0.2%)	82 (1.0%)
Tezacaftor-ivacaftor / ivacaftor - N (%)	.	1 (0.1%)	5 (0.6%)	3 (0.3%)	8 (0.9%)	6 (0.7%)	3 (0.4%)	6 (0.8%)	25 (1.6%)	57 (0.7%)
Tezacaftor-elexacaftor-ivacaftor / ivacaftor - N (%)	249 (41.8%)	566 (75.2%)	617 (79.3%)	775 (79.7%)	695 (77.5%)	646 (76.6%)	502 (67.5%)	468 (63.3%)	823 (53.1%)	5341 (67.8%)
Autre modulateur* - N (%)	.	.	1 (0.1%)	3 (0.3%)	2 (0.2%)	6 (0.7%)	4 (0.5%)	11 (1.5%)	7 (0.5%)	34 (0.4%)

Registre français de la mucoviscidose 2024

Tableau 11.4b. Modulateurs du gène *CFTR*

	Classes d'âge (années)				Total
	00-01	02-05	06-11	12+	
Effectif total	208	529	892	6244	7873
Patients sous modulateurs - N (%)	41 (19.7%)	367 (69.4%)	727 (81.5%)	4479 (71.7%)	5614 (71.3%)
Ivacaftor - N (%)	4 (1.9%)	9 (1.7%)	16 (1.8%)	71 (1.1%)	100 (1.3%)
Lumacaftor-ivacaftor - N (%)	36 (17.3%)	19 (3.6%)	12 (1.3%)	15 (0.2%)	82 (1.0%)
Tezacaftor-ivacaftor / ivacaftor - N (%)	.	.	3 (0.3%)	54 (0.9%)	57 (0.7%)
Tezacaftor-elexacaftor-ivacaftor / ivacaftor - N (%)	1 (0.5%)	339 (64.1%)	696 (78%)	4305 (68.9%)	5341 (67.8%)
Autre modulateur* - N (%)	.	.	.	34 (0.5%)	34 (0.4%)

Registre français de la mucoviscidose 2024

Dans le cas où deux modulateurs ont été prescrits dans l'année, seul le dernier a été pris en compte dans ces tableaux.

Note:

-% par rapport à l'effectif total de la classe d'âge

*Patients bénéficiant d'un modulateur dans le cadre d'un essai clinique ou d'un schéma thérapeutique autre que ceux décrits

11. Prise en charge thérapeutique

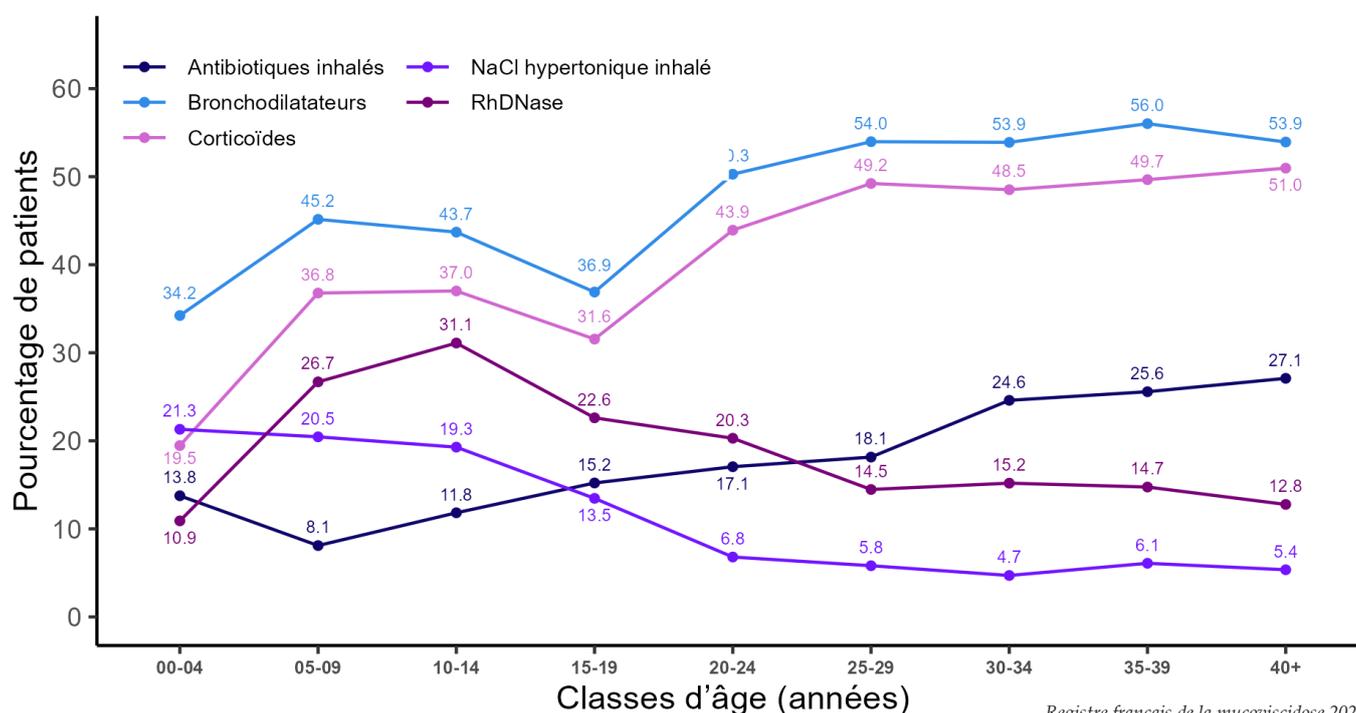
■ Aérosolthérapie

Tableau 11.5. Produits administrés en aérosolthérapie (≥ 3 mois)

	Classes d'âge (années)									Total	%
	00-04	05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40+		
Effectif total	596	753	778	973	897	843	744	739	1550	7873	.
Patients sous aérosolthérapie* - N (%)	336 (56.4%)	513 (68.1%)	533 (68.5%)	598 (61.4%)	590 (65.8%)	588 (69.8%)	513 (69.0%)	532 (72.0%)	1097 (70.8%)	5300	67.3 %
Antibiotiques inhalés, dont :	82	61	92	148	153	153	183	189	420	1481	18.8 %
- <i>Tobramycine</i>	24	30	44	73	65	69	65	61	94	525	6.7 %
- <i>Colistine</i>	21	27	50	76	96	90	121	118	288	887	11.3 %
- <i>Aztréonam</i>	.	.	2	.	5	11	7	20	36	81	1.0 %
Bronchodilatateurs	204	340	340	359	451	455	401	414	836	3800	48.3 %
- <i>inhalés seuls</i>	175	243	253	267	327	331	288	301	585	2770	35.2 %
- <i>nébulisés</i>	29	19	13	13	24	15	23	29	63	228	2.9 %
Corticoïdes	116	277	288	307	394	415	361	367	790	3315	42.1 %
- <i>inhalés seuls</i>	109	52	22	30	16	21	15	21	62	348	4.4 %
- <i>nébulisés</i>	22	17	6	7	2	3	1	3	8	69	0.9 %
- <i>traitement corticoïde intra-nasal</i>	67	192	191	187	277	273	253	259	562	2261	28.7 %
Association bronchodilatateurs et corticoïdes inhalés	47	131	168	178	208	240	209	214	429	1824	23.2 %
NaCl hypertonique inhalé	127	154	150	131	61	49	35	45	83	835	10.6 %
RhDNase	65	201	242	220	182	122	113	109	198	1452	18.4 %

Registre français de la mucoviscidose 2024

* Par nébulisation, spray et/ou poudre

Figure 11.4. Produits administrés en aérosolthérapie (≥ 3 mois)


Registre français de la mucoviscidose 2024

11. Prise en charge thérapeutique

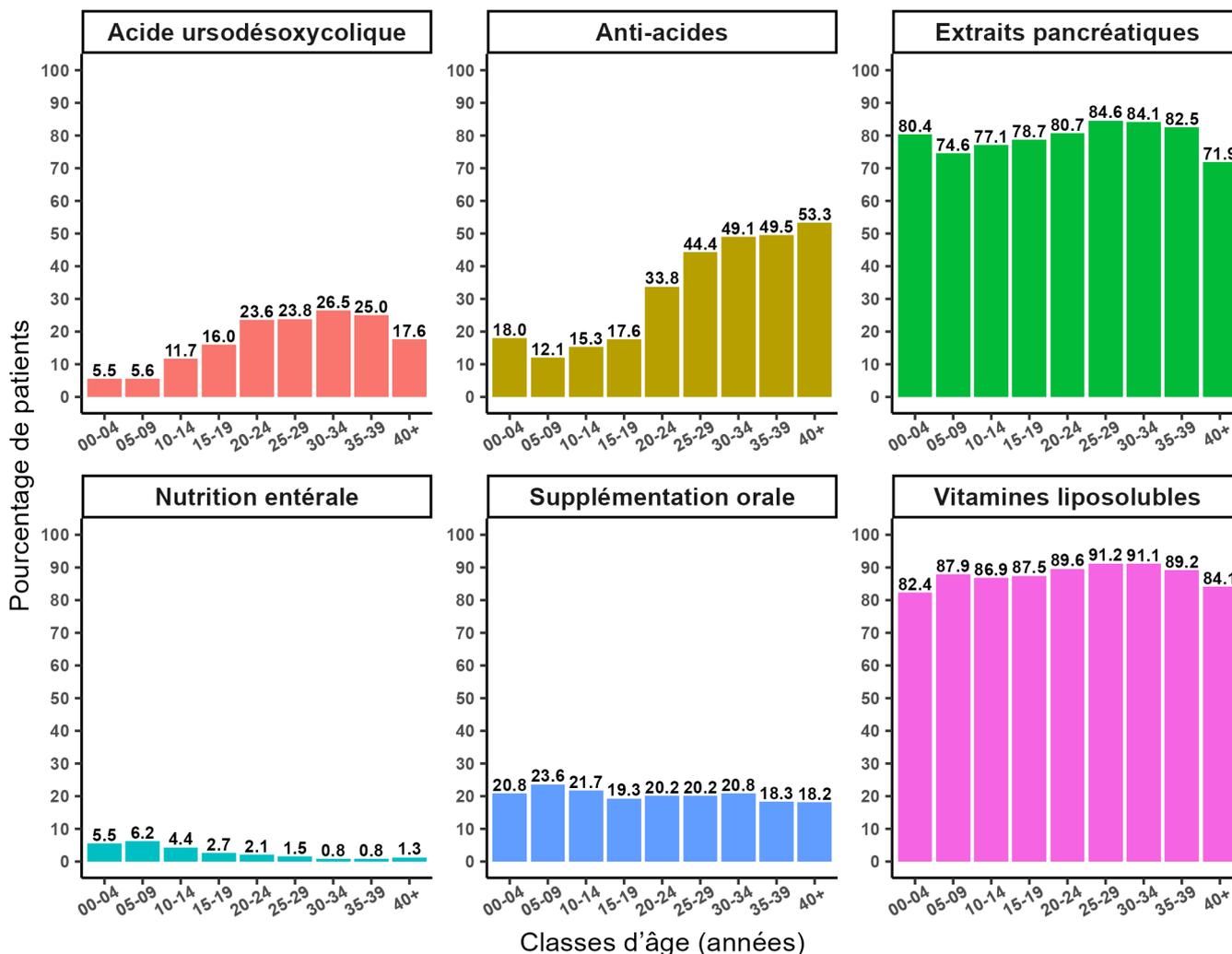
- Digestive et nutritionnelle

Tableau 11.6. Thérapeutiques à visées hépatique, digestive et nutritionnelle (≥ 3 mois)

	Classes d'âge (années)									Total	%
	00-04	05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40+		
Effectif total	596	753	778	973	897	843	744	739	1550	7873	
Acide ursodésoxycolique	33	42	91	156	212	201	197	185	273	1390	17.7 %
Anti-acides	107	91	119	171	303	374	365	366	826	2722	34.6 %
Extraits pancréatiques	479	562	600	766	724	713	626	610	1114	6194	78.7 %
Nutrition entérale	33	47	34	26	19	13	6	6	20	204	2.6 %
Supplémentation orale	124	178	169	188	181	170	155	135	282	1582	20.1 %
Vitamines liposolubles	491	662	676	851	804	769	678	659	1303	6893	87.6 %

Registre français de la mucoviscidose 2024

Figure 11.5. Thérapeutiques à visée hépatique, digestive et nutritionnelle (≥ 3 mois)



Registre français de la mucoviscidose 2024

11. Prise en charge thérapeutique

■ Autre thérapeutique

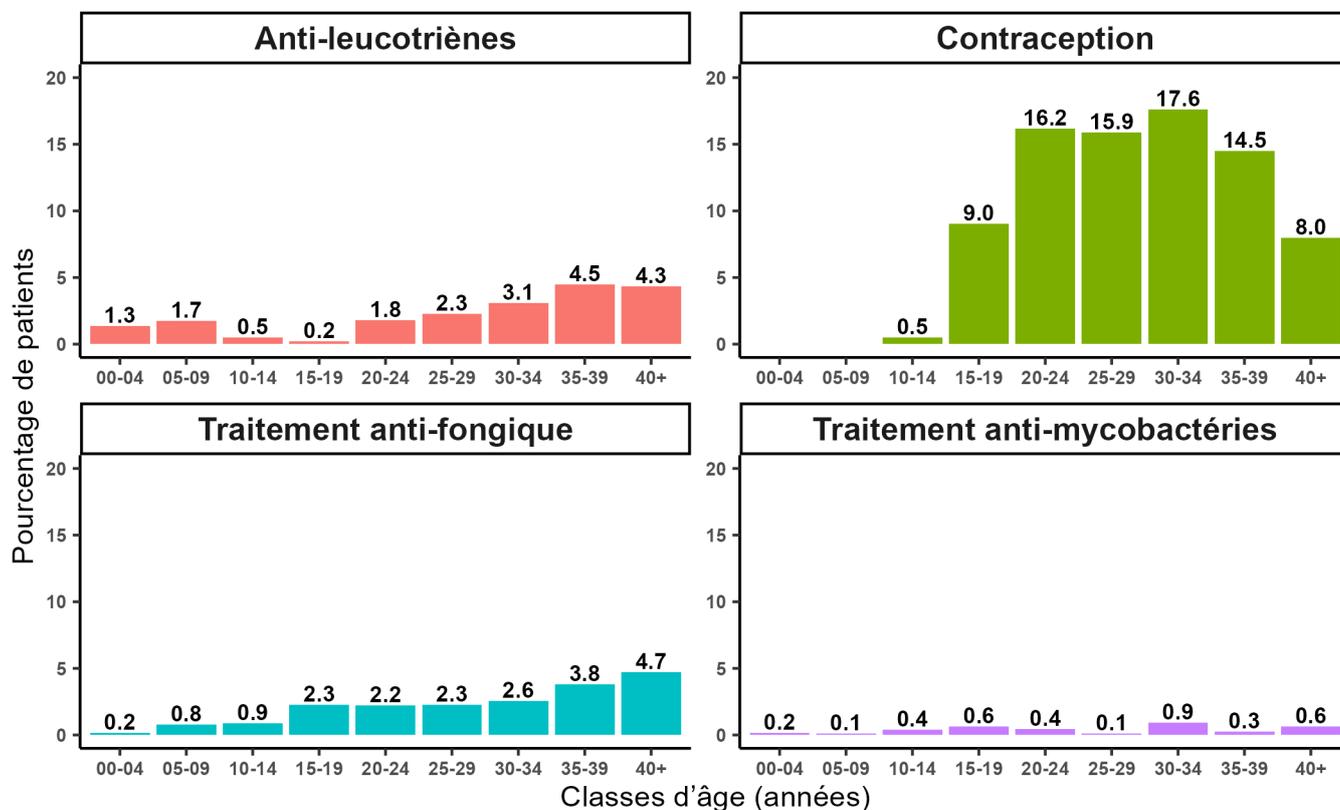
Tableau 11.7. Autres thérapeutiques

	Classes d'âge (années)									Total	%
	00-04	05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40+		
Effectif total	596	753	778	973	897	843	744	739	1550	7873	.
Traitement anti-fongique	1	6	7	22	20	19	19	28	73	195	2.5 %
Traitement anti-mycobactéries	1	1	3	6	4	1	7	2	10	35	0.4 %
Anti-leucotriènes	8	13	4	2	16	19	23	33	67	185	2.3 %
Contraception	.	.	4	88	145	134	131	107	124	733	9.3 %

Registre français de la mucoviscidose 2024

* Parmi les femmes de 15 à 49 ans, 29.8% sont sous contraception.

Figure 11. 6. Autres thérapeutiques



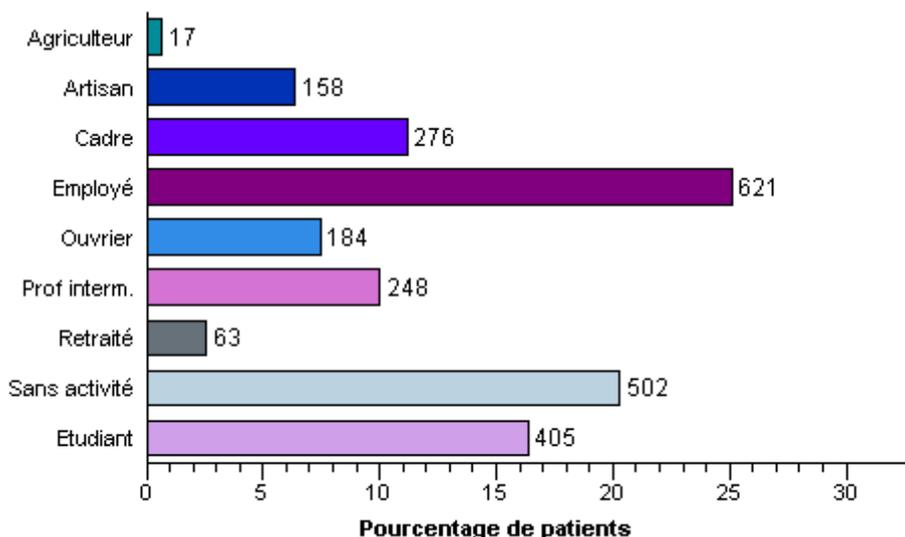
Registre français de la mucoviscidose 2024

12. Données sociales

Situation professionnelle

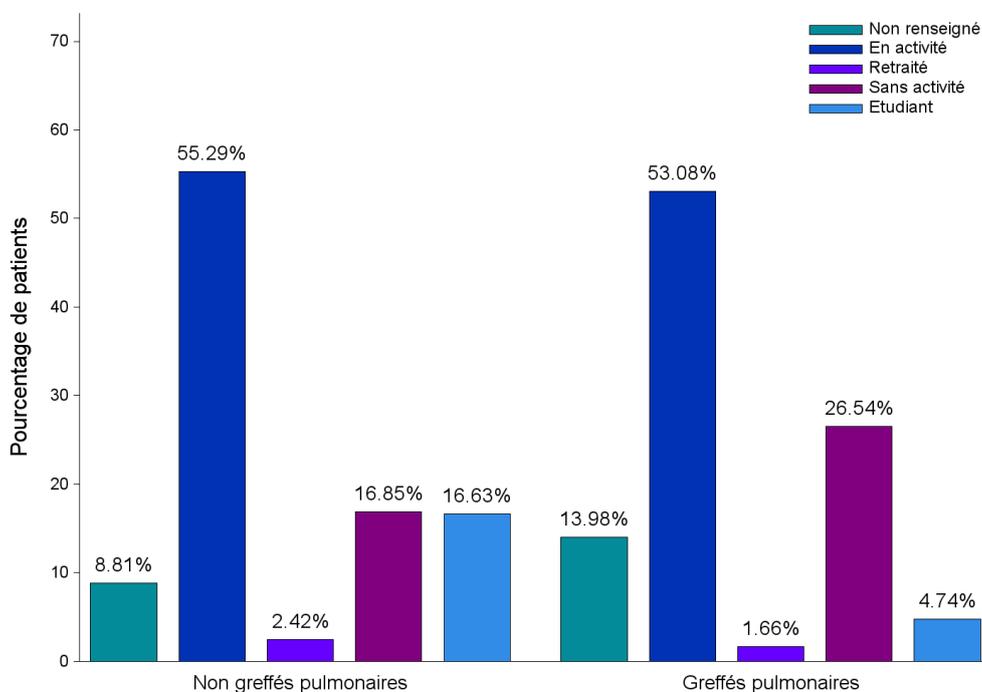
Figure 12.1a. Situation professionnelle des hommes de 18 ans et plus

N = 2474 (effectif des patients pour lesquels la situation professionnelle est connue, ce qui correspond à 90.4% des hommes adultes).



Registre français de la mucoviscidose 2024

Figure 12.1b. Situation professionnelle des adultes hommes greffés/non greffés pulmonaires



Registre français de la mucoviscidose 2024

Parmi les hommes de 18 à 65 ans, 55.8% exercent une activité professionnelle.

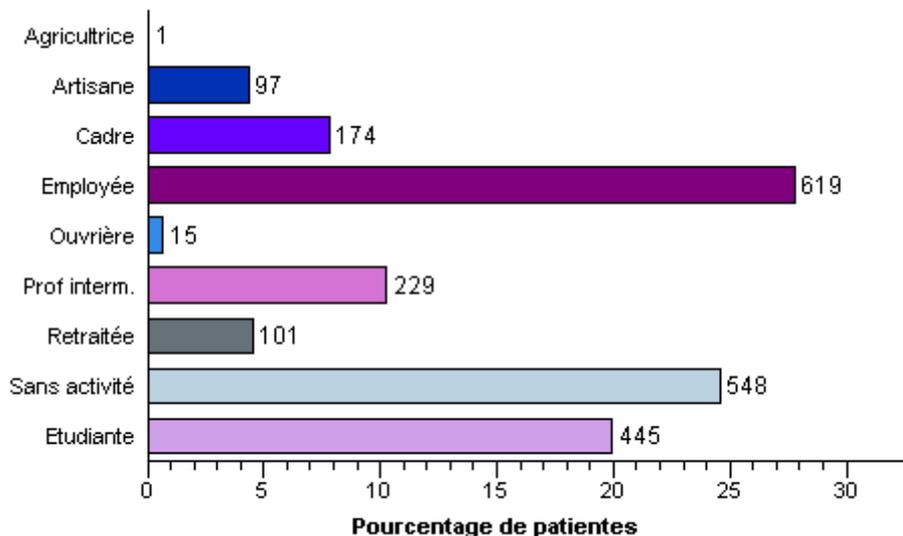
Parmi les hommes de 18 à 25 ans, 50.8% sont étudiants.

12. Données sociales

■ Situation professionnelle

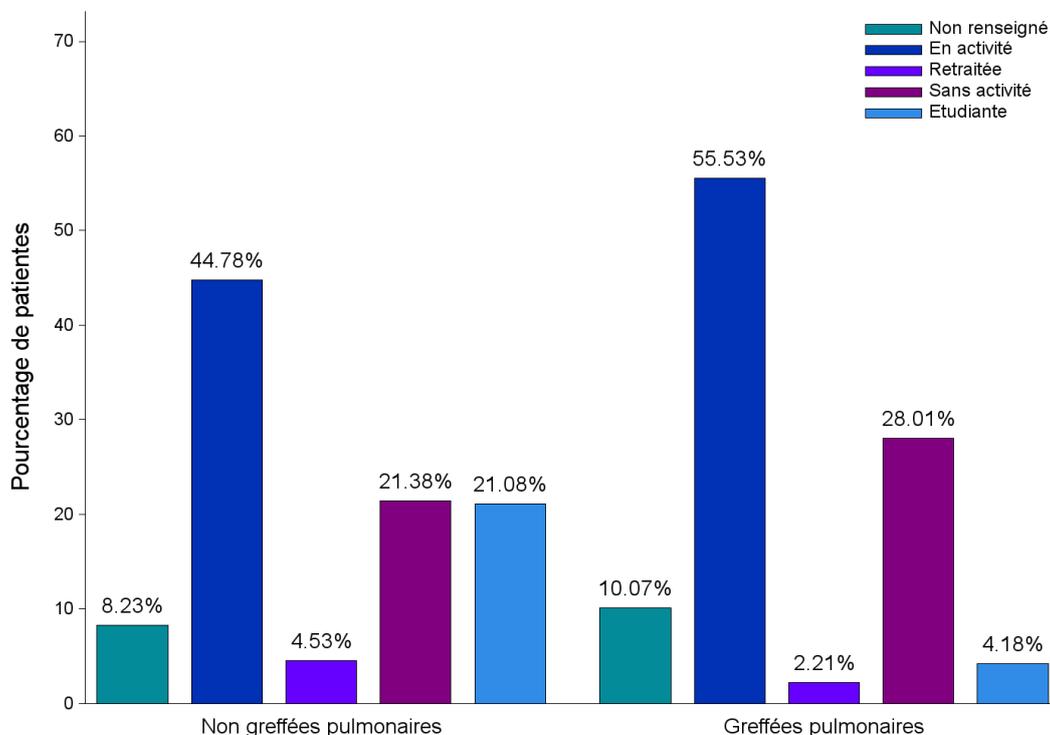
Figure 12.2a. Situation professionnelle des femmes de 18 ans et plus

N = 2229 (effectif des patientes pour lesquels la situation professionnelle est connue, ce qui correspond à 91.5% des femmes adultes).



Registre français de la mucoviscidose 2024

Figure 12.2b. Situation professionnelle des adultes femmes greffées/non greffées pulmonaires



Registre français de la mucoviscidose 2024

Parmi les femmes de 18 à 65 ans, 48.3% exercent une activité professionnelle.

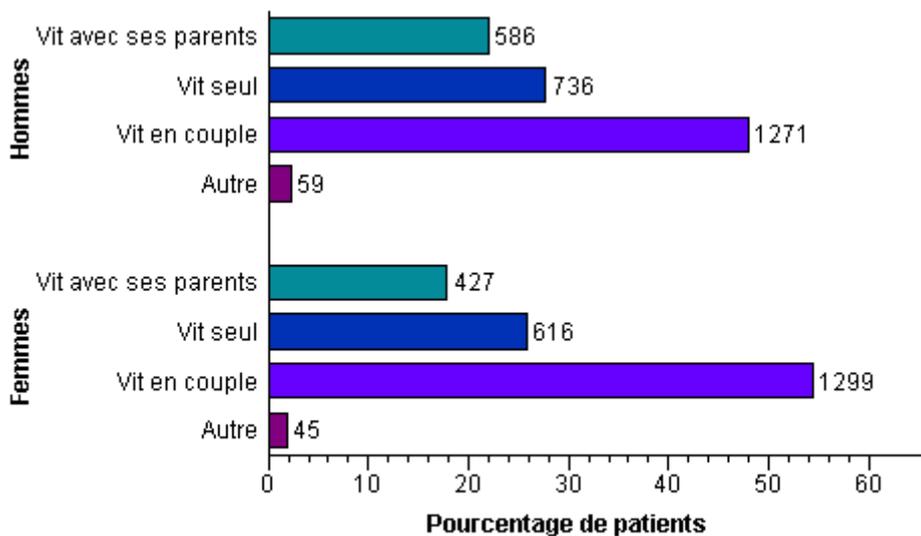
Parmi les femmes de 18 à 25 ans, 58.4% sont étudiantes.

12. Données sociales

Situation familiale et niveau de scolarité

Figure 12.3. Situation familiale des adultes

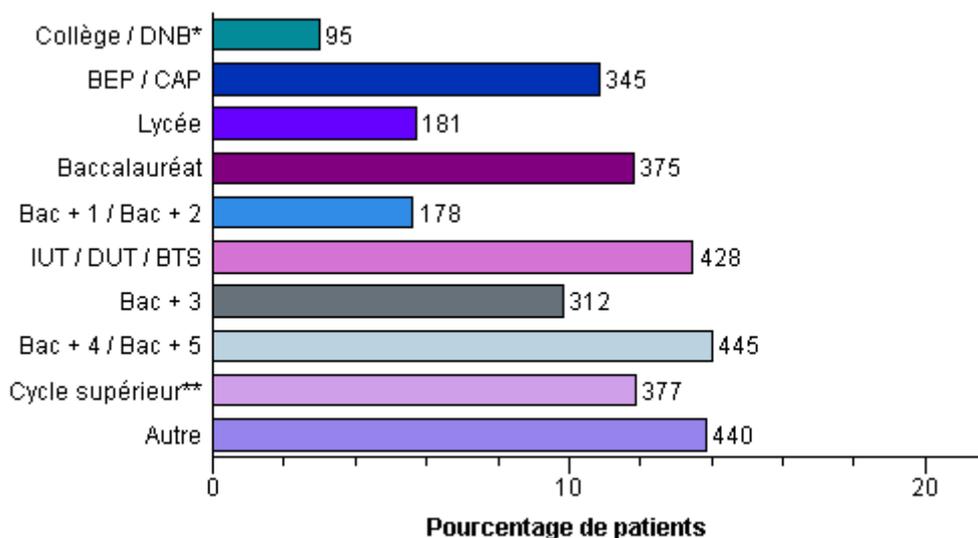
La situation familiale est connue pour 2652 hommes (96.89% des hommes adultes), et pour 2387 femmes (97.95% des femmes adultes).



Registre français de la mucoviscidose 2024

Figure 12.4. Niveau de scolarité des adultes

Le niveau de scolarité est connu pour 3176 patients (61.4% des adultes).



* DNB : Diplôme National du Brevet

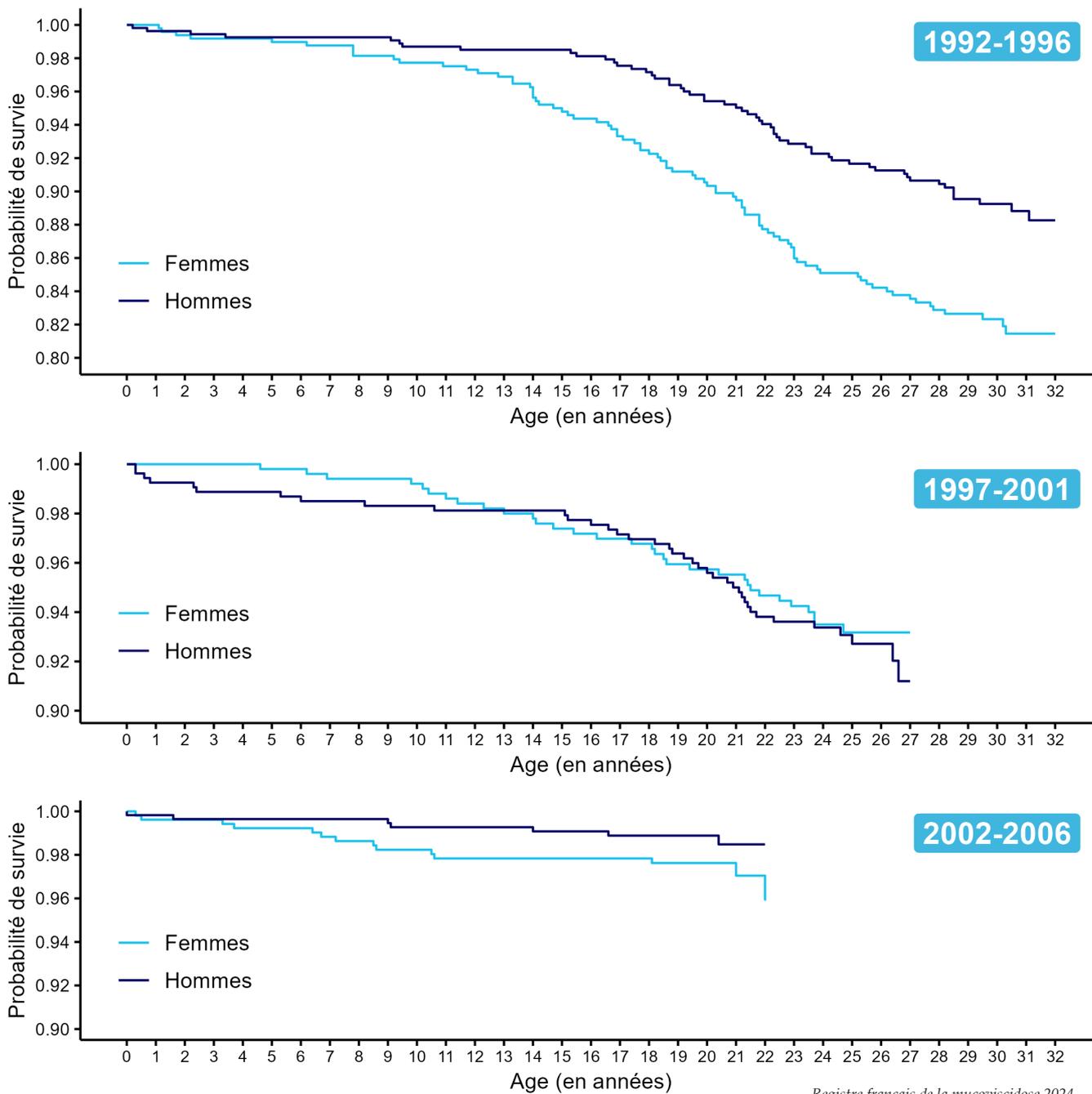
** Niveau non précisé

Annexe 1

■ Compléments sur l'analyse de survie – stratification par sexe

Figure A1.1. Survie selon la cohorte de naissance et le sexe (méthode de Kaplan-Meier)

Cohortes de naissance	Hommes		Femmes	
	Patients (N)	Décès (N)	Patients (N)	Décès (N)
1992-1996	540	56	488	84
1997-2001	535	38	515	33
2002-2006	566	10	523	14



Registre français de la mucoviscidose 2024

Dans la cohorte 1992-1996, la survie des femmes semble inférieure à celle des hommes, à partir de l'âge de 6 ans. Cette différence n'apparaît plus dans la cohorte de naissance 1997-2001, ce qui suggère une amélioration de l'état de santé des patientes au cours du temps.

Annexe 2

■ Anthropométrie — tous patients

Tableau A2.1. Z-score de la taille chez les enfants, par classe d'âge selon le sexe

Classes d'âge (années)		00-04	05-09	10-14	15-19	Total
Moyenne	Femmes	0.17	0.26	-0.04	-0.45	-0.07
	Hommes	0.11	0.08	0.08	-0.25	-0.01
Médiane	Femmes	0.10	0.18	-0.03	-0.43	-0.05
	Hommes	0.15	0.09	0.00	-0.18	-0.03

Tableau A2.2. Z-score du poids chez les enfants, par classe d'âge selon le sexe

Classes d'âge (années)		00-04	05-09	10-14	15-19	Total
Moyenne	Femmes	-0.19	0.15	0.19	0.17	0.10
	Hommes	-0.16	-0.04	-0.05	-0.16	-0.10
Médiane	Femmes	-0.30	0.04	-0.07	0.08	-0.03
	Hommes	-0.26	-0.22	-0.27	-0.23	-0.24

Tableau A2.3. Z-score de l'IMC chez les enfants, par classe d'âge selon le sexe

Classes d'âge (années)		00-04	05-09	10-14	15-19	Total
Moyenne	Femmes	-0.36	0.12	0.37	0.36	0.17
	Hommes	-0.29	0.07	0.13	0.06	0.01
Médiane	Femmes	-0.51	-0.04	0.20	0.18	0.02
	Hommes	-0.31	-0.07	0.02	-0.08	-0.10
Z-score de l'IMC ≥ 0 (%)	Femmes	33.1	49.7	57.4	58.7	51.5
	Hommes	38.6	46.8	52.1	49.5	47.4

Tableau A2.4. Valeurs de l'IMC chez les adultes , par classe d'âge selon le sexe

Classes d'âge (années)		20-24	25-29	30-34	35-39	40 ou +	Total
Moyenne	Femmes	21.96	22.11	22.26	22.59	22.59	22.33
	Hommes	21.84	22.61	22.74	23.03	23.36	22.80
Médiane	Femmes	21.22	21.30	21.69	21.88	21.48	21.49
	Hommes	21.43	22.13	22.30	22.69	22.91	22.31
IMC ≥ 22 (%)	Femmes	41.1	43.4	45.9	49.0	43.7	44.3
IMC ≥ 23 (%)	Hommes	28.2	38.9	42.9	47.5	49.6	42.4
IMC < 18.5 (%)	Femmes	11.0	13.7	13.1	10.4	14.6	12.9
	Hommes	13.2	9.8	9.6	8.7	7.7	9.5

Chez les adultes, la taille moyenne est de 172,8 cm pour les hommes et 160,5 cm pour les femmes.

Chez les adultes, le poids moyen est de 68,34 kg pour les hommes et 57,58 kg pour les femmes.

Annexe 2

■ Spirométrie—tous patients

Tableau A2.5. CVF (%), par classe d'âge selon le sexe

Classes d'âge (années)		05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40 ou +	Total
Moyenne	Femmes	104.5	100.2	99.4	96.6	92.1	90.7	87.3	85.3	93.6
	Hommes	105.8	100.3	99.6	97.3	95.9	91.0	90.7	87.7	95.0
	Tous patients	105.2	100.3	99.5	97.0	94.0	90.9	89.1	86.6	94.4
Médiane	Femmes	105.0	100.3	100.9	99.7	93.9	91.9	87.1	86.3	95.7
	Hommes	107.3	100.7	99.4	98.3	97.6	93.0	91.6	89.4	97.1
	Tous patients	106.4	100.4	100.3	99.0	95.7	92.3	89.6	88.1	96.4

Tableau A2.6. VEMS (%), par classe d'âge selon le sexe

Classes d'âge (années)		05-09	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40 ou +	Total
Moyenne	Femmes	103.9	98.7	95.8	88.3	80.5	78.7	73.4	72.5	85.1
	Hommes	104.9	98.9	97.1	88.3	85.0	78.0	76.5	74.0	86.1
	Tous patients	104.4	98.8	96.4	88.3	82.8	78.3	75.1	73.3	85.6
Médiane	Femmes	104.6	99.7	98.6	91.7	82.4	80.8	72.9	72.7	89.2
	Hommes	105.6	100.2	98.8	92.0	87.2	79.8	78.7	75.7	90.3
	Tous patients	105.4	100.1	98.7	91.9	85.2	80.1	76.6	74.5	89.8

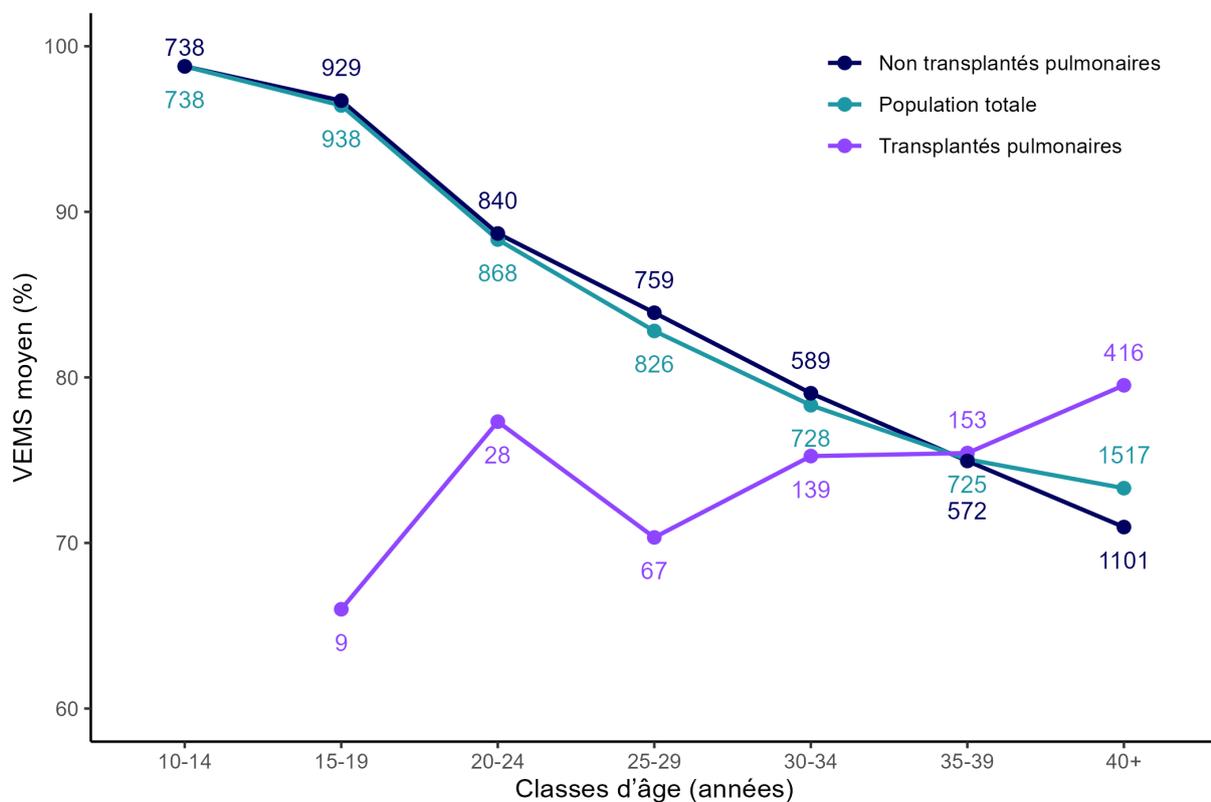
Annexe 2

■ Spirométrie et transplantation

À titre d'approfondissement, les moyennes du VEMS (%) par classe d'âge, observées en 2024, ont fait l'objet de la comparaison supplémentaire suivante : le VEMS (%) moyen de l'ensemble des patients a été comparé à celui des patients porteurs ou non porteurs d'un transplant cardio-pulmonaire ou bi-pulmonaire.

La figure ci-dessous montre que les moyennes de la population totale et des patients non transplantés sont quasi identiques jusqu'à 20-24 ans. Ensuite, le VEMS moyen (%) de la population totale accuse une baisse plus importante que celui des non transplantés jusqu'au 35-39 ans où la tendance s'inverse avec un écart atteignant plus de 4 points de pourcentage de la valeur théorique à 40 ans.

Figure A2.1. Moyenne du VEMS (%) chez les patients transplantés et non transplantés



Registre français de la mucoviscidose 2024

Courbe « Transplantés pulmonaires » :

- les valeurs situées **sur** la courbe représentent le nombre de patients transplantés pulmonaires ayant une valeur de VEMS renseignée en 2024 et présents dans chaque classe d'âge (ex: 67 patients chez les 25-29 ans).
- Aucune transplantation pulmonaire n'a été recensée chez les patients de moins de 15 ans.

Courbe « Non transplantés pulmonaires » :

- les valeurs situées **sur** la courbe représentent le nombre de patients non transplantés pulmonaires ayant une valeur de VEMS renseignée en 2024 et présents dans chaque classe d'âge (ex: 759 patients chez les 25-29 ans).

Annexe 3 (1/2)

Centres participants

Tableau A3.1. Liste des CRCM

CRCM Pédiatriques	Nombre de patients*
Besançon	67
Bordeaux	171
Grenoble	92
Lille	177
Lyon	248
Marseille	140
Nancy	132
Nantes	111
Paris Necker	165
Paris Robert Debré	145
Paris Trousseau	50
Rennes St Brieuc	107
Saint Denis de la Réunion	69
Strasbourg	115
Toulouse	124
Tours	103
Versailles	59
CRCM Adultes	
Besançon	91
Bordeaux	250
Grenoble	166
Lille	281
Lyon	466
Marseille	279
Nancy	110
Nantes	274
Paris Cochin	622
Rennes	175
Strasbourg	206
Suresnes Foch	456
Toulouse	243
Tours	119
CRCM Mixtes	
Amiens	119
Angers-Le Mans	145
Caen	149
Clermont-Ferrand	165
Créteil	119
Dijon	136
Dunkerque	91
Giens	200
Limoges	84
Montpellier	269
Nice	128
Reims	150
Roscoff	175
Rouen	251
Saint Pierre de la Réunion	84
Vannes-Lorient	109

Registre français de la mucoviscidose 2024



Annexe 3 (2/2)

■ Centres participants

Tableau A3.2. Liste des centres (hors CRCM)

Centre	Nombre de patients*
Centres Pédiatriques	
Le Havre	11
Centres Mixtes	
Lens	16

Registre français de la mucoviscidose 2024

* Nombre de patients venus dans le centre pendant l'année. Les patients de la file active qui n'ont pas été vus pendant l'année n'ont donc pas été pris en compte.

Annexe 4 (1/2)

Tableau A4.1. Synthèse des données

	2020	2021	2022	2023	2024
Patients vus dans l'année et centres participant au Registre					
- Patients recensés par le Registre* (nombre) :	7351	7499	7712	7772	8008
- Patients vus dans l'année par les centres** (nombre) :	7192	7399	7583	7674	7873
- Centres (nombre) :					
CRCM enfants :	17	17	17	17	17
CRCM adultes :	14	14	14	14	14
CRCM mixtes :	16	16	16	16	16
Autres centres :	3	3	2	2	2
Démographie					
- Patients de sexe masculin (%) :	52	52	52.4	52.3	52.5
- Age des patients, en année (moyenne) :	23.9	24.8	25.2	25.7	26.4
- Age des patients, en année (médiane) :	21.9	22.8	23.3	24	24.7
- Age des patients, en année (extrêmes) :	0.1-85.6	0-86.6	0-87.6	0.1-88	0.1-89.6
- Patients âgés de 18 ans ou plus (%) :	59.7	61.7	62.6	64.2	65.7
- Débuts de grossesses dans l'année (nombre) :	64	103	131	117	94
- Taux de conception chez les femmes âgées de 15 à 49 ans (pour 1 000) :	31.4	48.2	59.2	51.6	40.2
- Age des patientes ayant déclaré un début de grossesse, en années (moyenne) :	29.5	31.1	30.2	30.3	30
- Décès (nombre) :	47	46	59	43	52
- Taux brut de mortalité (pour 1 000) :	6.6	6.3	7.9	5.6	6.7
- Age des patients décédés, en années (moyenne) :	37	42.5	44	39.9	41.2
- Age des patients décédés, en années (médiane) :	33	39.1	41.5	38.5	39.5
Diagnostic et génétique					
- Age au diagnostic, en mois (médiane) :	1.9	1.9	1.9	1.8	1.8
- Nouveaux diagnostics dans l'année (nombre) :	155	150	191	158	162
- Age au diagnostic des nouveaux patients, en mois (médiane) :	1.1	1.1	1.3	1.4	1.4
- Age au diagnostic des nouveaux patients, en années (extrêmes) :	0-81	0-75	0-77	0-80	0-81
- Génotypes complets identifiés (%) :	98.5	98.6	98.7	98.7	98.5
F508del / F508del :	41.3	40.8	40.6	40.4	40.1
F508del / Autre :	41.7	42.2	42.3	42.4	42.5
Autre / Autre :	15.4	15.7	15.8	15.9	15.9
F508del / Non renseigné :	0.4	0.4	0.4	0.4	0.5
Autre / Non renseigné :	0.7	0.6	0.6	0.6	0.6
Non renseigné / Non renseigné :	0.5	0.4	0.4	0.4	0.5
Anthropométrie					
- Patients d'âge < 18 ans, Z-score de la taille (moyenne) :	0.08	0.08	0.04	0.04	0.03
Z-score du poids (moyenne) :	-0.06	-0.06	-0.06	-0.02	0
Z-score de l'IMC (moyenne) :	-0.04	-0.02	-0.01	0.03	0.07
- Patients d'âge ≥18 ans, IMC (moyenne) :	21.59	21.95	22.16	22.29	22.49
Spirométrie					
- patients d'âge < 18 ans, VEMS (%) moyen (GLI ¹) :	92.3	95	97.3	98.7	100.2
- patients d'âge ≥ 18 ans, VEMS (%) moyen (GLI ¹) :	72.1	76.5	79.1	79.5	80.1

Registre français de la mucoviscidose 2024

* Patients pour lesquels le statut vital est connu, qu'ils aient été vus ou non par un centre.

** Patients de référence pour les statistiques figurant dans ce rapport, hormis les données sur les décès.

¹ Global Lung Function Initiative (GLI)



Annexe 4 (2/2)

Tableau A4.1. Synthèse des données (suite)

	2020	2021	2022	2023	2024
Microbiologie					
- Patients ayant eu au moins 1 ECBC dans l'année (%) :	83.5	83.7	82.1	80	79.3
<i>H. influenzae</i> :	11.2	10.1	12.4	13.4	12.3
<i>Staph. meti R</i> :	5.2	4.7	3.2	2.2	2.3
<i>Staph. meti S</i> :	58	57.6	52.7	49.3	46.3
<i>P. aeruginosa</i> :	35.7	34	26.8	22.9	21
<i>S. maltophilia</i> :	9.3	9.3	6.3	4.8	4.7
<i>B. cepacia</i> :	2.1	2	1.6	1.1	1.1
<i>Achromobacter spp.</i> :	6.4	6.4	3.9	3.6	3.4
<i>Aspergillus fumigatus</i> :	23.2	21.8	12.2	9.4	9.4
Morbidité et transplantation					
- ABPA	6.7	6.3	4	3.6	2.9
- Autre forme d'aspergillose (non ABPA)	1.5	2.3	1.6	1.3	0.7
- Fonction pancréatique exocrine anormale (%) :	80.9	80.5	80.4	79.6	78.7
- Reflux gastro-oesophagien traité (%) :	27.1	28.2	27.4	26.5	26
- Ostéopénie/ostéoporose (%) :	14.9	16.1	17.5	18.9	19.3
- Hémoptysie (%) :	4.8	4.1	2.3	2.3	2.4
- Maladie hépatique (%) :	16.7	18.1	18.6	18.1	18.1
- Diabète traité ou non par insuline ou par antidiabétique oral (%) :	21.9	22.7	22.7	22.5	22.5
- Patients porteurs d'un transplant (nombre) :	960	956	934	891	874
dont transplantés dans l'année (nombre) :	53	31	26	13	22
dont transplantés décédés (%) :	0.3	0.4	0.6	0.4	0.4
- Patients inscrits en liste d'attente de greffe (nombre) :	90	62	45	43	47
dont inscrits dans l'année :	37	28	20	19	22
décédés dans l'année sans avoir été transplantés :	0	2	2	4	1
Prise en charge thérapeutique					
- Cures d'antibiotiques IV (%) :	25.6	19.9	12.5	11.4	11.1
- Oxygénothérapie (%) :	3.9	2.7	1.7	1.8	1.9
- Ventilation non invasive (%) :	3.5	2.1	1.5	1.9	1.8
- Azithromycine (ou autre macrolide) (%) :	38.1	36.1	30.6	26.4	24.7
- Antibiotiques inhalés (%) :	37.8	34.2	25	21.5	18.8
- Bronchodilatateurs (%) :	58.3	58.3	52.9	49.9	48.3
- RhDNase (%) :	44.9	41.4	29.2	22.3	18.4
- Corticoïdes (%) :	47.9	49.6	46.2	43.9	42.1
- Extraits pancréatiques (%) :	80.9	80.3	80.2	79.5	78.7
- Modulateurs du CFTR (%) :	33.6	52.3	62.4	70.3	71.3

Registre français de la mucoviscidose 2024

Annexe 5 (1 / 2)

Tableau A5.1. Synthèse des données des transplantés et des non transplantés

	Transplantés	Non Transplantés	Registre 2024
Patients vus dans l'année et centres participant au Registre			
- Patients vus dans l'année par les centres (nombre)* :	870	7003	7873
Démographie			
- Age des patients, en année (moyenne) :	40.4	24.7	26.4
- Age des patients, en année (médiane) :	39.9	22.4	24.7
- Patients âgés de 18 ans ou plus (%) :	99	61.6	65.7
- Débuts de grossesses dans l'année (nombre) :	3	91	94
- Décès (nombre) :	29	23	52
Diagnostic et génétique			
- Age au diagnostic, en mois (médiane) :	5.3	1.7	1.8
- Génotypes complets identifiés (%) :	97.9	98.6	98.5
F508del / F508del :	48.9	39	40.1
F508del / Autre :	37.5	43.1	42.5
Autre / Autre :	11.6	16.4	15.9
F508del / Non renseigné :	0.5	0.5	0.5
Autre / Non renseigné :	0.6	0.6	0.6
Non renseigné / Non renseigné :	1	0.4	0.5
Anthropométrie			
- Patients d'âge < 18 ans, Z-score de la taille (moyenne) :	-1.48	0.03	0.03
Z-score du poids (moyenne) :	-1.87	0	0
Z-score de l'IMC (moyenne) :	-0.78	0.08	0.07
- Patients d'âge ≥ 18 ans, IMC (moyenne) :	20.4	22.9	22.5
Spirométrie			
- Patients d'âge < 18 ans, VEMS (%) moyen (GLI ¹) :	84.2	100.3	100.2
- Patients d'âge ≥ 18 ans, VEMS (%) moyen (GLI ¹) :	76.8	80.7	80.1
Prise en charge thérapeutique			
- Extraits pancréatiques (%) :	95.1	76.6	78.7
- Corticoïdes oraux (%) :	78.3	1.8	10.3
- Modulateurs du CFTR (%) :	7.1	79.3	71.3
- Dont transplantés pulmonaires (%) :	3.6	0	0.4
- Tezacaftor-elexacaftor-ivacaftor / ivacaftor (%) :	6.7	75.4	67.8
- Dont transplantés pulmonaires** (%) :	3.3	0	0.4

Registre français de la mucoviscidose 2024

* La différence entre le nombre de patients transplantés page 34 (874) et le nombre de patients transplantés présenté dans ce tableau (870) s'explique par la non prise en compte des patients non-vus décédés en 2024.

** dont 1 patient ayant arrêté le traitement post greffe en 2024

¹ Global Lung Function Initiative (GLI)


Annexe 5 (2/2)
Tableau A5.2. Synthèse des pathologies des transplantés et des non transplantés

	Transplantés	Non Transplantés	Registre 2024
Pathologies respiratoires et ORL			
Pneumothorax (%) :	0.2	0.2	0.2
Hémoptysie (%) :	0.9	2.6	2.4
ABPA (%) :	2.2	2.9	2.9
Autre forme d'aspergillose (non ABPA) (%) :	2.3	0.6	0.7
HTAP (%) :	0.5	0.2	0.3
Asthme (%) :	10.6	20.3	19.3
Polypes nasaux (%) :	27.5	14.3	15.8
Rhinosinusite chronique symptomatique (%) :	29.1	16.6	17.9
Surdité / Hypoacousie (%) :	24.9	5.3	7.4
Pathologies digestives et hépatiques			
Fonction pancréatique exocrine anormale (%) :	95.6	76.6	78.7
Reflux gastro-oesophagien traité (%) :	64.5	21.2	26
Maladie hépatique (%) :	21.8	17.6	18.1
- Sans cirrhose (%) :	17.4	13	13.5
- Cirrhose avec hypertension portale (%) :	2.1	1.6	1.7
- Cirrhose sans hypertension portale (%) :	0.6	1.9	1.7
Hémorragie digestive (%) :	0.2	0.1	0.1
Calculs biliaires (%) :	4	2.8	2.9
Obstruction intestinale (%) :	2.4	1.8	1.9
Pancréatite aiguë (%) :	0.6	1	0.9
Pathologies métaboliques			
Test HGPO réalisé (%) :	6.1	28.9	26.4
Intolérance au glucose (%) :	4.6	15.1	14
Diabète total (traité ou non par insuline ou antidiabétique oral) (%) :	70.1	16.6	22.5
Diabète non traité par insuline (%) :	3.6	4	4
Diabète traité par antidiabétique oral (%) :	2.4	1.4	1.5
Diabète traité par insuline (%) :	65.1	11.7	17.6
Complications dégénératives du diabète (%) :	12.5	0.6	1.9
- Rétinopathie (%) :	3.8	0.3	0.7
- Néphropathie (%) :	9.8	0.4	1.4
- Neuropathie (%) :	1.7	0.1	0.3
- Macroangiopathie diabétique (%) :	0.7	0	0.1
Insuffisance surrénalienne (%) :	4.4	1.1	1.5
Autres éléments de morbidité			
Cancer (%) :	9.3	0.7	1.7
- tumeurs solides (%) :	3.8	0.5	0.9
- hémopathies (%) :	1.4	0.1	0.3
- tumeurs cutanées (%) :	3.8	0	0.4
- autres (%) :	0	0	0
Ostéopénie / ostéoporose (%) :	58.6	14.4	19.3
Fracture (%) :	0.8	0.7	0.7
Arthropathie (%) :	6.9	3.1	3.5
Incontinence urinaire (%) :	0.8	0.9	0.9
Lithiase rénale (%) :	3.3	1.2	1.4
Hypertension artérielle traitée (%) :	45.7	2.2	7
Insuffisance rénale terminale (%) :	6.1	0.1	0.7
Dépression (évaluée et suivie) (%) :	29.4	9.2	11.5

Annexe 6

Tableau A6.1. Synthèse des données des formes classiques et des formes atypiques

Les formes atypiques sont celles issues du dépistage néonatal (CFSPID/CRMS) et les formes mono-symptomatiques (CFTR-RD).

	Mucoviscidose classique	Forme atypique	Registre 2024
Patients vus dans l'année et centres participant au Registre			
- Patients vus dans l'année par les centres (nombre)* :	7307	547	7873
Démographie			
- Age des patients, en année (moyenne) :	26.1	29.8	26.4
- Age des patients, en année (médiane) :	24.7	24	24.7
- Patients âgés de 18 ans ou plus (%) :	65.9	62.9	65.7
- Débuts de grossesses dans l'année (nombre) :	91	2	94
- Décès (nombre) :	46	3	52
Diagnostic et génétique			
- Age au diagnostic, en mois (médiane) :	1.6	99.3	1.8
- Génotypes complets identifiés (%) :	99.2	90.5	98.5
F508del / F508del :	43.1	0.2	40.1
F508del / Autre :	41.2	60	42.5
Autre / Autre :	14.8	30.3	15.9
F508del / Non renseigné :	0.3	2.6	0.5
Autre / Non renseigné :	0.2	4.9	0.6
Non renseigné / Non renseigné :	0.3	2	0.5
Anthropométrie			
- patients d'âge < 18 ans, Z-score de la taille (moyenne) :	-0.01	0.46	0.03
Z-score du poids (moyenne) :	-0.04	0.5	0
Z-score de l'IMC (moyenne) :	0.05	0.34	0.07
- patients d'âge ≥ 18 ans, IMC (moyenne) :	22.3	24.5	22.5
Spirométrie			
- patients d'âge < 18 ans, VEMS (%) moyen (GLI ¹) :	100.3	100.1	100.2
- patients d'âge ≥ 18 ans, VEMS (%) moyen (GLI ¹) :	79.3	91	80.1
Morbidité			
- ABPA (%) :	2.9	1.8	2.9
- Autre forme d'aspergillose (non ABPA) (%) :	0.8	0.2	0.7
- Fonction pancréatique exocrine anormale (%) :	83.8	12.2	78.7
- Reflux gastro-oesophagien traité (%) :	26.9	13.9	26
- Ostéopénie/ostéoporose (%) :	20	9.3	19.3
- Hémoptysie (%) :	2.5	1.3	2.4
- Maladie hépatique (%) :	19.1	4.8	18.1
- Diabète traité ou non par insuline ou par antidiabétique oral (%) :	23.9	3.7	22.5
Prise en charge thérapeutique			
- Extraits pancréatiques (%) :	83.7	13.2	78.7
- Corticoïdes oraux (%) :	11	1.1	10.3
- Modulateurs du CFTR (%) :	75.2	21.6	71.3

* Le type de diagnostic est manquant pour 19 patients.

Les données de ces patients ne sont donc pas présentées dans les groupes Mucoviscidose classique et Forme atypique.

¹ Global Lung Function Initiative (GLI)

Annexe 7 (1 / 2)

Tableau A7.1. Synthèse des données des hommes et des femmes

	Hommes	Femmes	Registre 2024
Patients vus dans l'année et centres participant au Registre			
- Patients vus dans l'année par les centres (nombre)* :	4136	3737	7873
Démographie			
- Age des patients, en année (moyenne) :	26.4	26.4	26.4
- Age des patients, en année (médiane) :	25	24.4	24.7
- Patients âgés de 18 ans ou plus (%) :	66.2	65.2	65.7
- Débuts de grossesses dans l'année (nombre) :	.	94	94
- Décès (nombre) :	24	28	52
Diagnostic et génétique			
- Age au diagnostic, en mois (médiane) :	1.8	1.9	1.8
- Génotypes complets identifiés (%) :	98.7	98.3	98.5
F508del / F508del :	41.3	38.8	40.1
F508del / Autre :	42	43	42.5
Autre / Autre :	15.4	16.4	15.9
F508del / Non renseigné :	0.4	0.6	0.5
Autre / Non renseigné :	0.5	0.7	0.6
Non renseigné / Non renseigné :	0.5	0.5	0.5
Anthropométrie			
- Patients d'âge < 18 ans, Z-score de la taille (moyenne) :	0.05	0.01	0.03
Z-score du poids (moyenne) :	-0.08	0.08	0
Z-score de l'IMC (moyenne) :	0.01	0.14	0.07
- Patients d'âge ≥ 18 ans, IMC (moyenne) :	22.7	22.3	22.5
Spirométrie			
- Patients d'âge < 18 ans, VEMS (%) moyen (GLI ¹) :	100.9	99.6	100.2
- Patients d'âge ≥ 18 ans, VEMS (%) moyen (GLI ¹) :	80.7	79.4	80.1
Prise en charge thérapeutique			
- Extraits pancréatiques (%) :	80.5	76.7	78.7
- Corticoïdes oraux (%) :	9.7	10.9	10.3
- Modulateurs du CFTR (%) :	72.4	70.1	71.3
- Dont transplantés pulmonaires (%) :	0.4	0.4	0.4
- Tezacaftor-elexacaftor-ivacaftor / ivacaftor (%) :	69.1	66.5	67.8
- Dont transplantés pulmonaires (%) :	0.4	0.4	0.4

Registre français de la mucoviscidose 2024

¹ Global Lung Function Initiative (GLI)


Annexe 7 (2/2)
Tableau A7.2. Synthèse des pathologies des hommes et des femmes

	Hommes	Femmes	Registre 2024
Pathologies respiratoires et ORL			
Pneumothorax (%) :	0.1	0.2	0.2
Hémoptysie (%) :	1.5	3.4	2.4
ABPA (%) :	2.7	3	2.9
Autre forme d'aspergillose (non ABPA) (%) :	0.7	0.9	0.7
HTAP (%) :	0.2	0.3	0.3
Asthme (%) :	18	20.7	19.3
Polypes nasaux (%) :	16.7	14.7	15.8
Rhinosinusite chronique symptomatique (%) :	16.5	19.5	17.9
Surdité / Hypoacousie (%) :	6.9	8	7.4
Pathologies digestives et hépatiques			
Fonction pancréatique exocrine anormale (%) :	80.6	76.7	78.7
Reflux gastro-oesophagien traité (%) :	23.7	28.5	26
Maladie hépatique (%) :	20.1	15.9	18.1
- Sans cirrhose (%) :	14.5	12.5	13.5
- Cirrhose avec hypertension portale (%) :	2.1	1.3	1.7
- Cirrhose sans hypertension portale (%) :	2.2	1.3	1.7
Hémorragie digestive (%) :	0.2	0.1	0.1
Calculs biliaires (%) :	3.1	2.8	2.9
Obstruction intestinale (%) :	1.9	1.9	1.9
Pancréatite aiguë (%) :	1	0.8	0.9
Pathologies métaboliques			
Test HGPO réalisé (%) :	27	25.7	26.4
Intolérance au glucose (%) :	14.5	13.4	14
Diabète total (traité ou non par insuline ou antidiabétique oral) (%) :	21.6	23.4	22.5
Diabète non traité par insuline (%) :	4.1	3.9	4
Diabète traité par antidiabétique oral (%) :	1.6	1.4	1.5
Diabète traité par insuline (%) :	16.8	18.6	17.6
Complications dégénératives du diabète (%) :	1.9	2	1.9
- Rétinopathie (%) :	0.7	0.7	0.7
- Néphropathie (%) :	1.5	1.4	1.4
- Neuropathie (%) :	0.3	0.2	0.3
- Macroangiopathie diabétique (%) :	0.1	0.1	0.1
Insuffisance surrénalienne (%) :	1.2	1.8	1.5
Autres éléments de morbidité			
Cancer (%) :	1.5	1.8	1.7
- tumeurs solides (%) :	0.8	0.9	0.9
- hémopathies (%) :	0.2	0.3	0.3
- tumeurs cutanées (%) :	0.4	0.5	0.4
- autres (%) :	0	0	0
Ostéopénie / ostéoporose (%) :	19.5	19	19.3
Fracture (%) :	0.7	0.9	0.7
Arthropathie (%) :	2.2	5	3.5
Incontinence urinaire (%) :	0.2	1.6	0.9
Lithiase rénale (%) :	1.4	1.6	1.4
Hypertension artérielle traitée (%) :	7.2	6.9	7
Insuffisance rénale terminale (%) :	0.7	0.7	0.7
Dépression (évaluée et suivie) (%) :	7.9	15.4	11.5

Géré par l'association Vaincre la Mucoviscidose, le Registre français de la mucoviscidose recueille chaque année des données précises auprès des centres de soins (CRCM). Cet outil épidémiologique incontournable permet d'évaluer les caractéristiques, l'état de santé et le suivi des patients atteints de mucoviscidose.

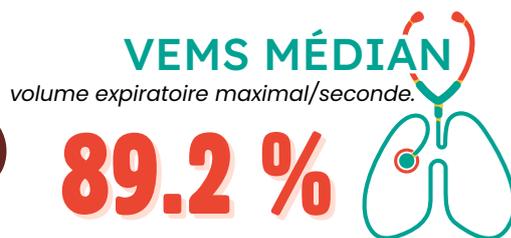
Le présent Focus résume les principaux indicateurs collectés. L'association s'engage pour une utilisation responsable des données de santé : transparente, sécurisée et éthique.



CHEZ LES HOMMES



CHEZ LES FEMMES



5 614

PATIENTS SOUS MODULATEURS DE CFTR (71.3%).



2 259

PATIENTS SANS
MODULATEURS DE CFTR
(28.7%)*

*Dont 808 porteurs d'un greffon pulmonaire.
Soit **1 451** patients sans modulateur et
sans greffon pulmonaire.

21 %

INFECTION À
PSEUDOMONAS
AERUGINOSA



11.1 %

de patients avec au moins une cure d'antibiotiques en intraveineuse.

18.8 %

de patients avec au moins un antibiotique inhalé.



COMPLICATIONS

REFLUX GASTRO-OESOPHAGIEN

26 %

DÉPRESSION / ANXIÉTÉ

11.5 %

ASTHME

19.3 %

DIABÈTE

22.5 %

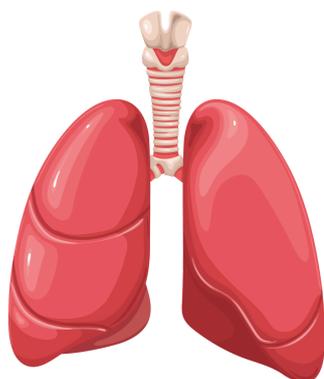
OSTÉOPOROSE / OSTÉOPÉNIE

19.3 %

FONCTION PANCRÉATIQUE ANORMALE

78.7 %

LES PATIENTS TRANSPLANTÉS :



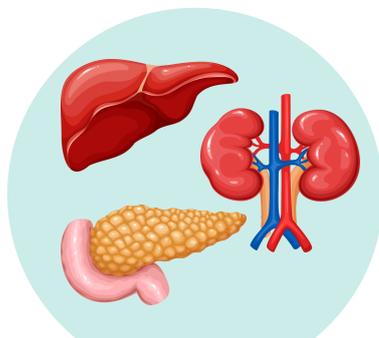
874

PATIENTS PORTEURS
D'UN GREFFON

DONT **837** PULMONAIRES

ÂGE MOYEN : **40.4 ANS**

LES TRANSPLANTÉS REPRÉSENTENT
16.7 % DES PATIENTS ADULTES.
MAIS ÉGALEMENT **61.5 %** DES DÉCÈS.



22 PATIENTS
TRANSPLANTÉS EN 2024
DONT 10 PULMONAIRES

70 %

DES PATIENTS TRANSPLANTÉS
ONT DU **DIABÈTE.**

9.3 %

DES PATIENTS TRANSPLANTÉS
ONT UN **CANCER.**

81 cas de cancer en 2024.

Les transplantés représentent
62 % des cancers des patients
mucoviscidose.

29.4 %

DES PATIENTS TRANSPLANTÉS
SOUFFRENT DE **DÉPRESSION ET**
D'ANXIÉTÉ.



VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

181 rue de Tolbiac - 75013 Paris
Tél. : 01 40 78 91 91 | vaincrelamuco.org



BILAN DES DONNÉES 2024

REGISTRE FRANÇAIS DE LA MUCOVISCIDOSE

Géré par l'association Vaincre la Mucoviscidose, le Registre français de la mucoviscidose recueille chaque année des données précises auprès des centres de soins (CRCM). Cet outil épidémiologique incontournable permet d'évaluer les caractéristiques, l'état de santé et le suivi des patients atteints de mucoviscidose. Il sert également de base à de nombreuses études de recherche et facilite, entre autres l'identification des malades pouvant participer aux études cliniques.

Le bilan annuel est réalisé en partenariat avec les professionnels de la filière Muco-CFTR.

L'association Vaincre la mucoviscidose s'engage pour une utilisation des données de santé de manière transparente, sécurisée et éthique, afin d'améliorer la connaissance de la maladie, la recherche, et les soins des patients atteints de mucoviscidose. Pour ce faire, nos actions s'inscrivent dans le prolongement du règlement général de la protection des données (RGPD) et des autorisations qui nous sont délivrées par la CNIL.

Pour plus d'informations rendez-vous sur :
www.vaincrelamuco.org/vosdonneesdesante

Pour retrouver tous les bilans du registre français de la mucoviscidose, scannez ce Qr-code :



vaincrelamuco.org



muco-cftr.fr

