

BILAN 2024 DU REGISTRE FRANÇAIS DE LA MUCOVISCIDOSE

MUCOVISCIDOSE : D'INDÉNIABLES PROGRÈS MAIS DES RÉALITÉS FORTEMENT CONTRASTÉES

Le Registre français de la mucoviscidose publie ses données 2024. S'il confirme les bénéfices apportés par la trithérapie Kaftrio, il révèle aussi une réalité plus sombre : certains patients restent en marge de ces avancées. Femmes, patients greffés et personnes malades sans accès aux modulateurs constituent aujourd'hui les populations les plus vulnérables face à la maladie. Et d'une manière globale, la santé digestive et hépatique de tous les patients demeure fragile, montrant ainsi les limites des modulateurs de CFTR.

Près d'un patient sur trois sans accès aux nouveaux traitements

En 2024, 71 % des patients atteints de mucoviscidose sont traités par un modulateur de CFTR, dont 68 % par Kaftrio. Depuis la commercialisation de Kaftrio en 2021, le gain de VEMS moyen est de 5 points tant chez les enfants que chez les adultes. Mais derrière ces chiffres, près d'un tiers sont exclus de cette révolution thérapeutique, soit en raison de leur profil génétique, de leur âge ou encore du fait que la prescription de Kaftrio pour les patients porteurs d'un greffon pulmonaire n'est recommandée que pour une infime minorité pour les cas d'atteintes ORL sévères. Cette proportion, qui représente des milliers de vies, souligne la nécessité urgente de poursuivre la recherche de solutions thérapeutiques alternatives.

Les patients greffés : une population qui décline tout comme leur état de santé

En 2024, 874 patients greffés sont recensés, dont 837 greffes pulmonaires. Depuis l'arrivée de Kaftrio, le nombre de nouvelles greffes diminue : 22 greffes réalisées en 2024, contre plusieurs dizaines chaque année auparavant. Mais si la greffe recule, la vulnérabilité de ces patients reste majeure : plus de 6 décès sur 10 concernent encore des patients greffés. Leur état de santé reste fragile et leur exclusion des trithérapies accentue cette situation.

En effet, cette population plus âgée (40,4 ans en moyenne) cumule de nombreuses complications chroniques. Plus des deux tiers présentent un diabète (70%), près d'un tiers une dépression ou une anxiété (29.4%). Les cancers restent également plus fréquents dans cette population, touchant 9,3 % d'entre eux, soit 62 % de l'ensemble des cas recensés en 2024. Ces données illustrent la complexité du parcours post-greffe et l'urgence de développer des stratégies de prises en charge spécifiques pour ces patients dont la santé demeure fragile malgré les progrès thérapeutiques.

Les femmes, confrontées à des inégalités durables face à la maladie

Les inégalités entre femmes et hommes se confirment. Bien qu'elles représentent 47,5 % des patients, les femmes comptent pour **54 % des décès en 2024**. Leur espérance de vie reste plus faible que celle des hommes. Elles présentent également :

- plus souvent une insuffisance pondérale (IMC < 18,5 : 8,9 % contre 6,1 % chez les hommes),
- un accès moindre à Kaftrio (66,5 % contre 69,1 %),
- et une prévalence accrue de comorbidités : **dépression et anxiété (15.4% vs 7.9% chez les hommes soit deux fois plus fréquentes)**, diabète, cancers.

Ces écarts mettent en lumière une véritable double peine : les femmes atteintes de mucoviscidose sont confrontées à des inégalités à la fois biologiques et sociales. Seules 48,3 % d'entre elles exercent un emploi, contre 55,8 % des hommes, tandis que près de 59 % des femmes de 18 à 25 ans poursuivent des études, contre moins de 51 % des hommes du même âge. Des disparités qui influencent directement leur qualité de vie et leur pronostic médical.

Une maladie qui évolue avec l'âge

La population des patients vieillit, ce qui est une bonne nouvelle mais apporte son lot de complications. En 2024, plus de **1 550 patients ont dépassé 40 ans**. Chez eux, les comorbidités explosent : **40,8 % sont diabétiques, 41 % atteints d'ostéoporose et plus de 5 % ont développé un cancer**. Leur prise en charge thérapeutique reste également plus lourde, avec un recours accru aux antibiotiques inhalés, cures IV et oxygénothérapie.

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 ne baisse que très légèrement (78,7% vs 80,5%), le diabète demeure présent chez 22,5% contre 22,7%, et 26% contre 28,2% des patients continuent d'être traités pour un reflux gastro-œsophagien. Les maladies hépatiques, quant à elles ne diminuent pas (18,1%). Ces données mettent en lumière les limites des modulateurs de CFTR.

Une alerte pour la recherche et les pouvoirs publics

« Derrière les progrès apportés par Kaftrio, il y a des patients pour qui rien n'a changé, et parfois même pour qui la situation se complique, et Kaftrio ne règle pas tout notamment les aspects digestifs de la maladie. Femmes, greffés, patients porteurs de mutations sans solution thérapeutique : nous avons le devoir de faire entendre leur voix et d'accélérer la recherche. »

THIERRY NOUVEL – DIRECTEUR GÉNÉRAL DE VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE.

Le Registre français de la mucoviscidose joue un rôle central dans cette mission. Ses données ont contribué à la réévaluation de Kaftrio par la Haute Autorité de santé, qui a reconnu en octobre 2025 son service médical rendu comme « majeur ». À cette occasion, la HAS a souligné la contribution du travail du Registre « de qualité remarquable, qui a permis de répondre aux attentes de la commission de disposer de données de vie réelle permettant de renseigner l'impact de la trithérapie ».

À l'avenir, sa transformation en **entrepôt de données de santé**, tout comme la création d'une plateforme de collecte de données de santé en mucoviscidose, permettra d'enrichir encore la recherche en vie réelle et d'orienter les décisions publiques en faveur des patients les plus fragiles.

A propos de Vaincre la Mucoviscidose :

Vaincre la Mucoviscidose, créée en 1965, accompagne les patients et leurs familles face à la maladie. L'association agit autour de quatre missions : guérir, soigner, améliorer la qualité de vie et sensibiliser. Reconnue d'utilité publique, elle milite pour les droits des malades et finance la recherche pour de nouveaux traitements. Soutenez-nous sur vaincrelamuco.org.

Contact presse :

Pierre GERARD

pgerard@vaincrelamuco.org

07 52 05 34 96