

Résultats de l'étude KOALA : elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor après une transplantation pulmonaire

Aux Pays-Bas, les personnes atteintes de mucoviscidose peuvent utiliser des modulateurs CFTR après une transplantation pulmonaire. Ce n'est pas le cas dans tous les pays européens. De plus, il n'a pas encore été largement étudié qui en bénéficie et dans quelle mesure. C'est pourquoi des chercheurs néerlandais ont étudié l'effet du modulateur CFTR elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio) chez des patients atteints de muco après une transplantation pulmonaire. Les chercheurs ont observé que le traitement avait un effet positif sur les troubles intestinaux et les sinusites chroniques, mais qu'il ne présentait pas d'avantages dans tous les domaines.

Pourquoi cette étude est-elle importante ?

Après une transplantation pulmonaire, les personnes atteintes de muco n'ont plus de mutation CFTR dans leurs poumons, qui produisent alors une protéine CFTR saine. Par conséquent, les poumons n'ont pas besoin de modulateur CFTR. Étant donné que ces médicaments sont coûteux et peuvent provoquer des effets secondaires, il est préférable de ne pas les administrer inutilement. Cependant, après une transplantation pulmonaire, les patients continuent de souffrir d'autres symptômes de la muco, comme des troubles digestifs, des problèmes intestinaux, du diabète et des sinusites chroniques. Cette dernière affection est due à la persistance de la mutation CFTR dans le nez, la gorge et le reste des voies respiratoires supérieures. Pris ensemble, ces éléments suggèrent que les modulateurs CFTR pourraient tout de même être bénéfiques.

Comment l'étude a-t-elle été menée ?

L'étude a inclus des patients ayant subi une transplantation pulmonaire et souffrant d'au moins un des symptômes suivants : insuffisance pondérale, sinusite chronique, diabète lié à la muco difficile à contrôler et troubles intestinaux sévères. Des questionnaires ont été utilisés pour évaluer l'amélioration de la qualité de vie, des symptômes sinusaux et des troubles intestinaux. Le poids, les paramètres sanguins et la fonction pulmonaire ont été mesurés régulièrement. Au total, 55 personnes ont participé à cette étude.

Quels ont été les résultats ?

Parmi les 55 participants, 50 ont terminé l'étude. Cinq patients ont arrêté prématurément en raison d'effets secondaires. Voici les résultats après trois mois de traitement avec elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor :

- Diminution du taux de chlorure dans la sueur.
- Légère augmentation de l'IMC, mais insuffisante pour sortir de l'insuffisance pondérale.
- Diminution des symptômes sinusaux.
- Diminution des troubles intestinaux.
- Amélioration de la qualité de vie.
- Aucune amélioration des symptômes du diabète.
- Aucune amélioration de la fonction pulmonaire.

Que signifient ces résultats et quelles sont les prochaines étapes ?

Le traitement par elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor peut être bénéfique aux personnes atteintes de CF même après une transplantation pulmonaire, mais il ne permet pas de traiter tous les symptômes. Ces résultats concernent une période de trois mois de traitement. L'étude se poursuit afin d'obtenir des données sur un traitement à plus long terme. Les patients ayant subi une transplantation pulmonaire et remplissant les critères de remboursement peuvent être éligibles au traitement. Pour des raisons de sécurité, il leur est demandé de participer à l'étude KOALA afin d'être suivis de manière plus approfondie. Si les symptômes ne s'améliorent pas, il peut être judicieux d'arrêter le traitement en raison du risque d'effets secondaires. Il est donc essentiel que les médecins et les patients atteints de CF (ayant subi une transplantation pulmonaire) collaborent étroitement pour déterminer si le traitement par modulateurs CFTR est bénéfique.

En savoir plus ?

Lisez l'article scientifique complet [ici](#).