



Session - Mucoviscidose : un nouveau sens de la vie avec les nouvelles thérapeutiques / quid des patients non éligibles ?

La mucoviscidose à l'ère des modulateurs de CFTR

Olivier Le Rouzic, Lille

15^e Journées Francophones Alvéole – mars 2024



Liens d'intérêts

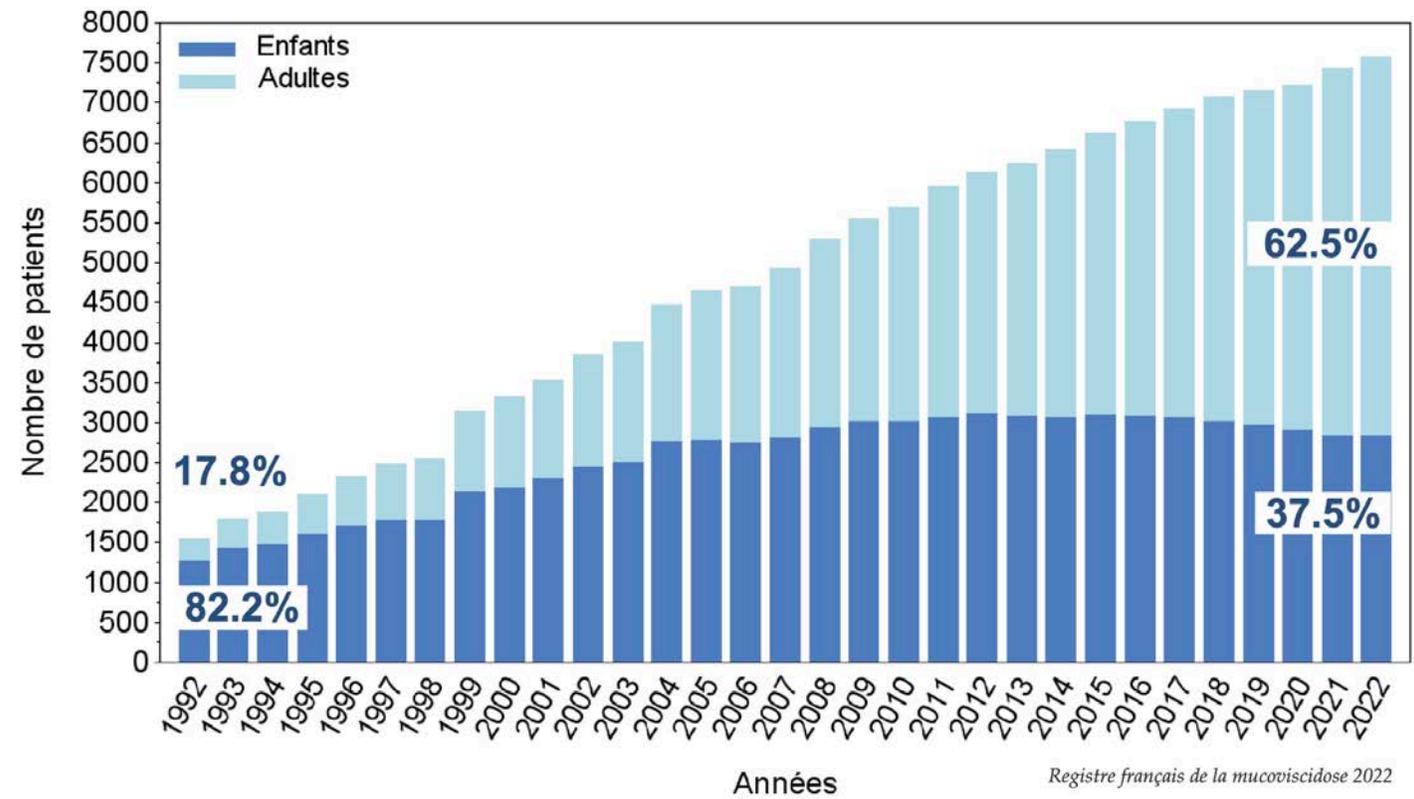
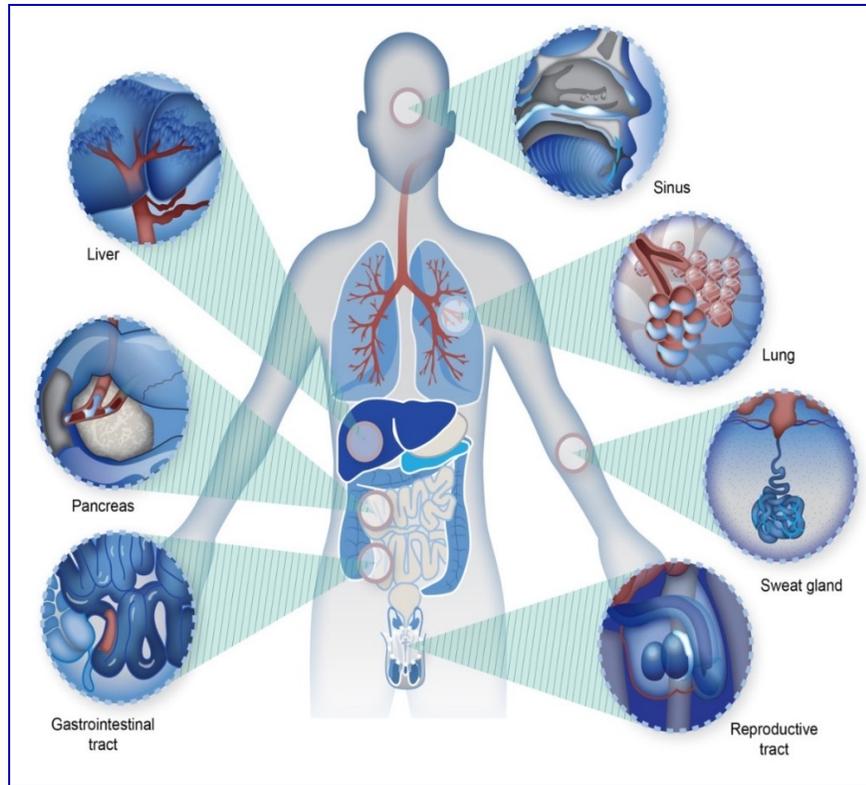
Honoraires, prises en charges...

- AstraZeneca
- Boehringer Ingelheim
- Chiesi
- CSL Behring
- GlaxoSmithKline
- Mayoli
- MSD
- Mylan
- Novartis
- Pfizer
- Vertex
- Vitalaire
- Zambon

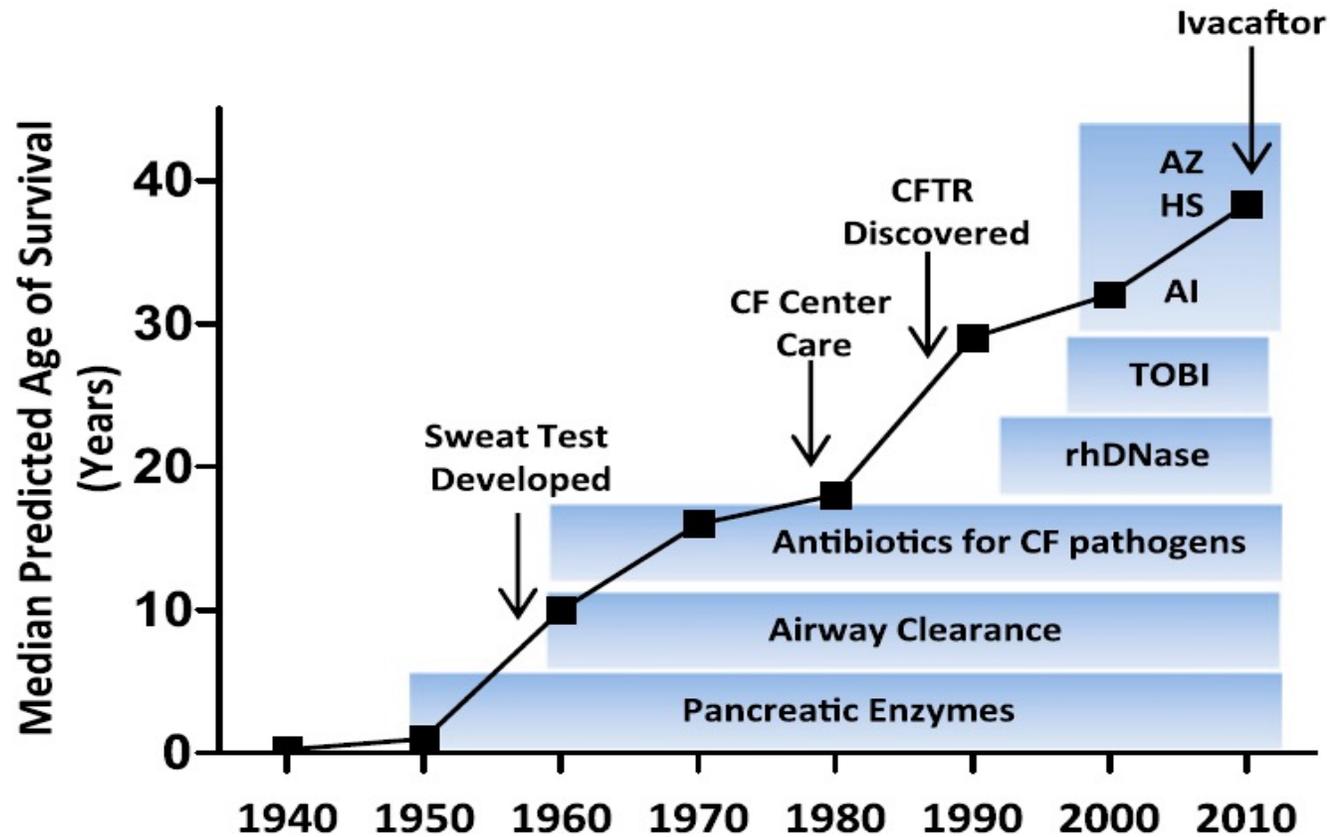
Investigateur principal pour études du laboratoire Vertex

La mucoviscidose

La mucoviscidose

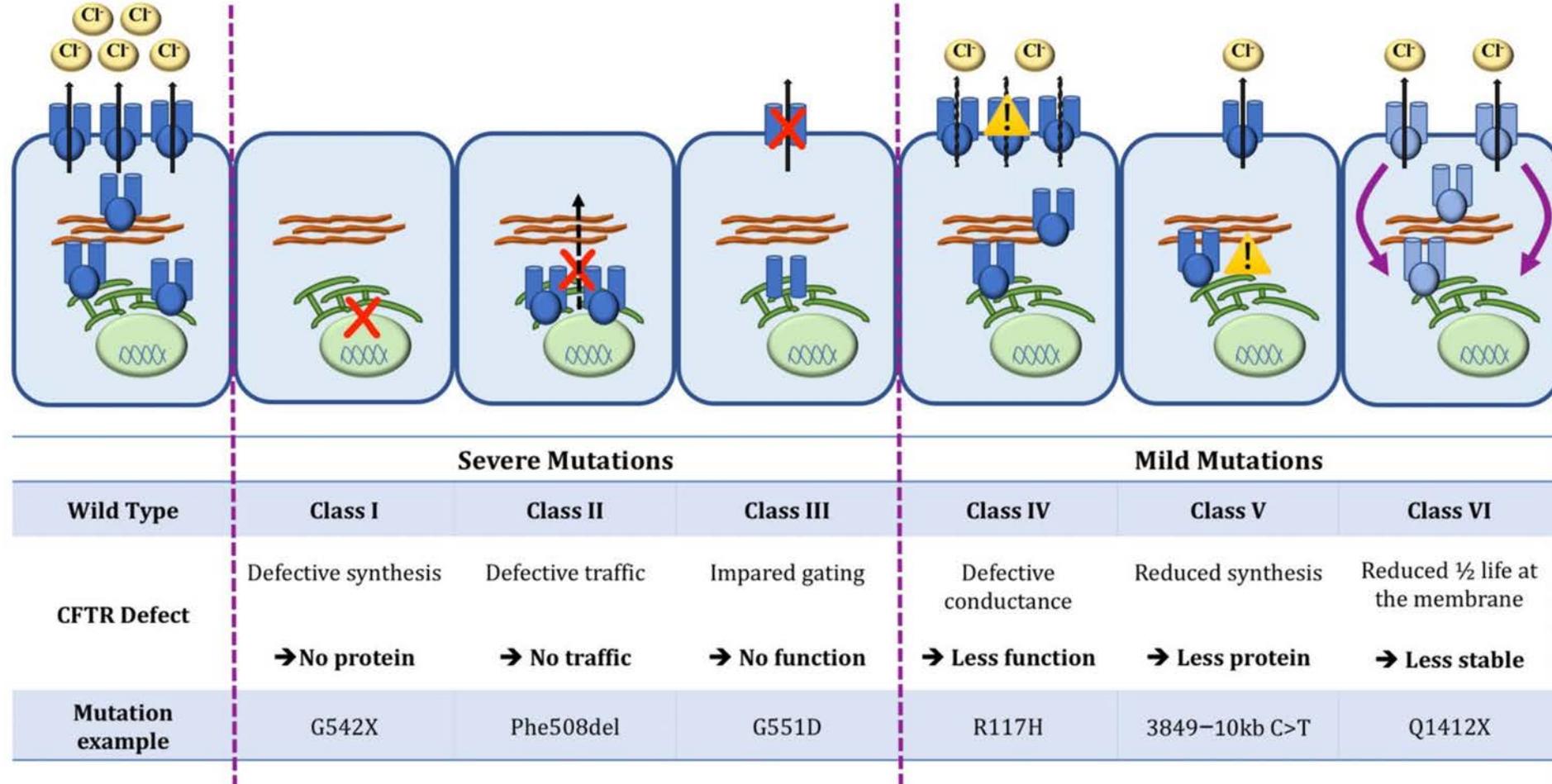


Une amélioration progressive de la survie



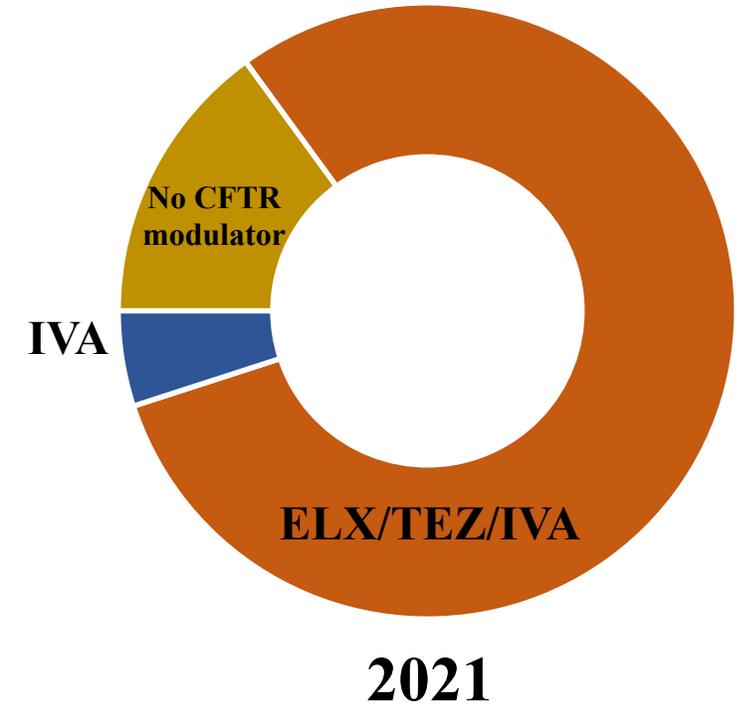
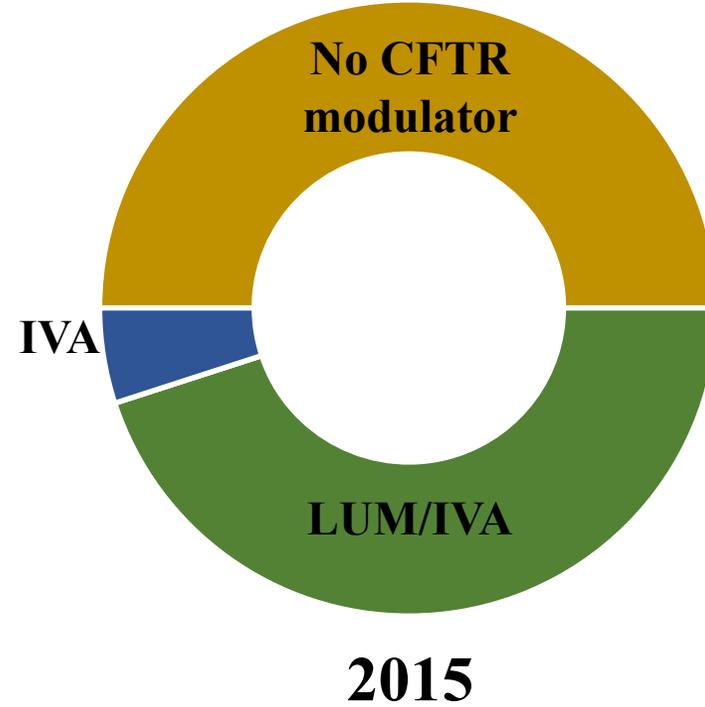
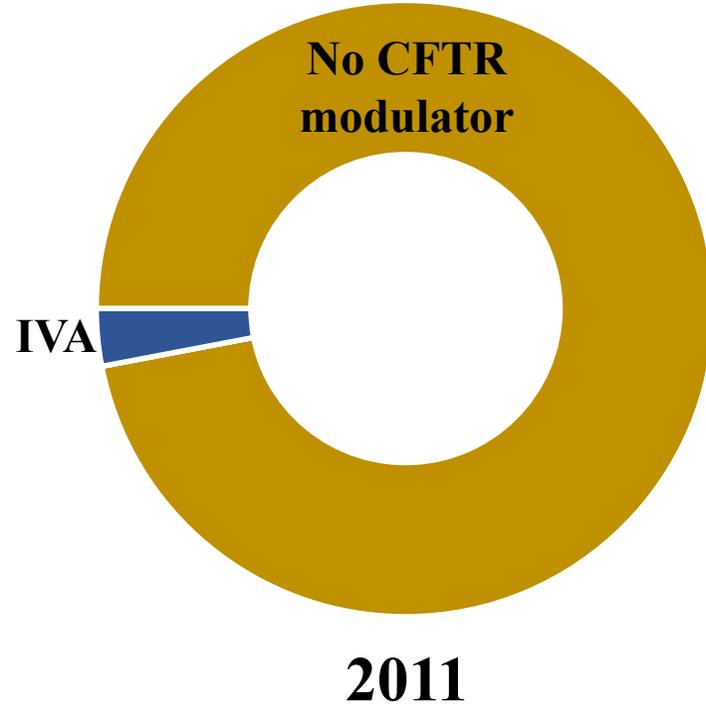


Les mutations CFTR



La révolution des modulateurs

Une proportion importante de patients éligibles





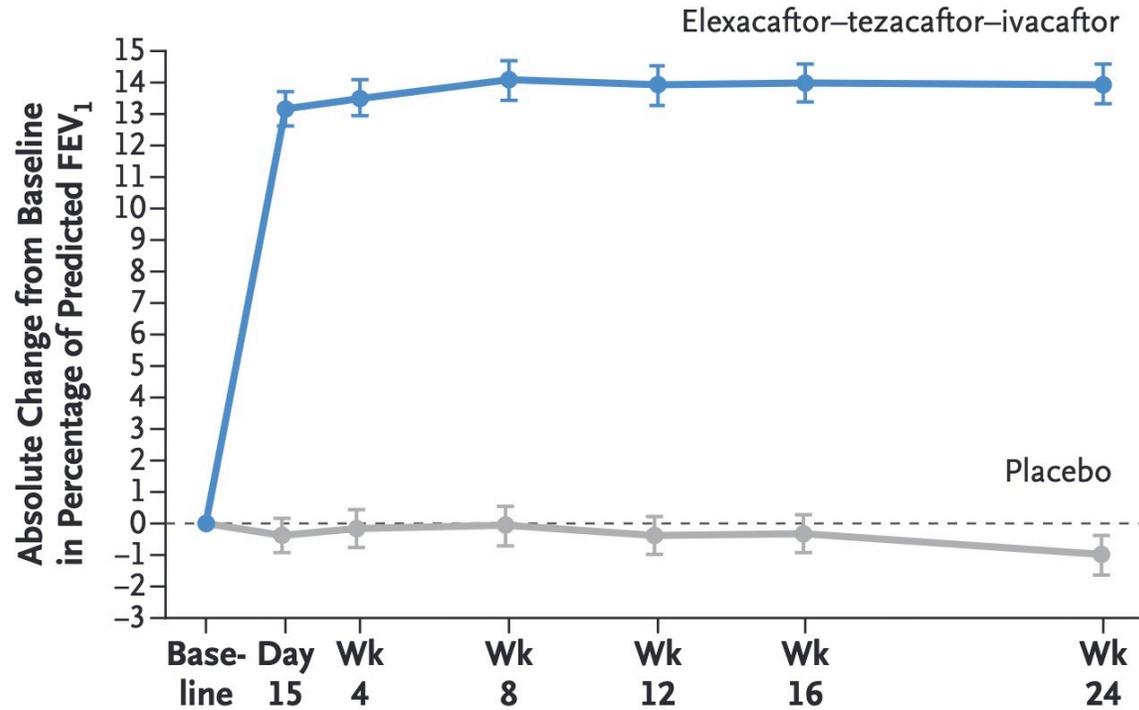
Un impact immédiat

« En moins de deux heures, j'ai remarqué des premiers changements subtils. Le mucus dans mes poumons a commencé à changer. J'ai entendu de petits craquements. J'avais l'impression que quelque chose de profond se lâchait. En l'espace de quatre heures, j'ai commencé à tousser presque constamment, ce mucus a commencé à glisser hors de mes poumons avec une facilité que je ne savais pas possible. « La purge » commençait. Et je savais que ma vie ne serait jamais comme avant..... »

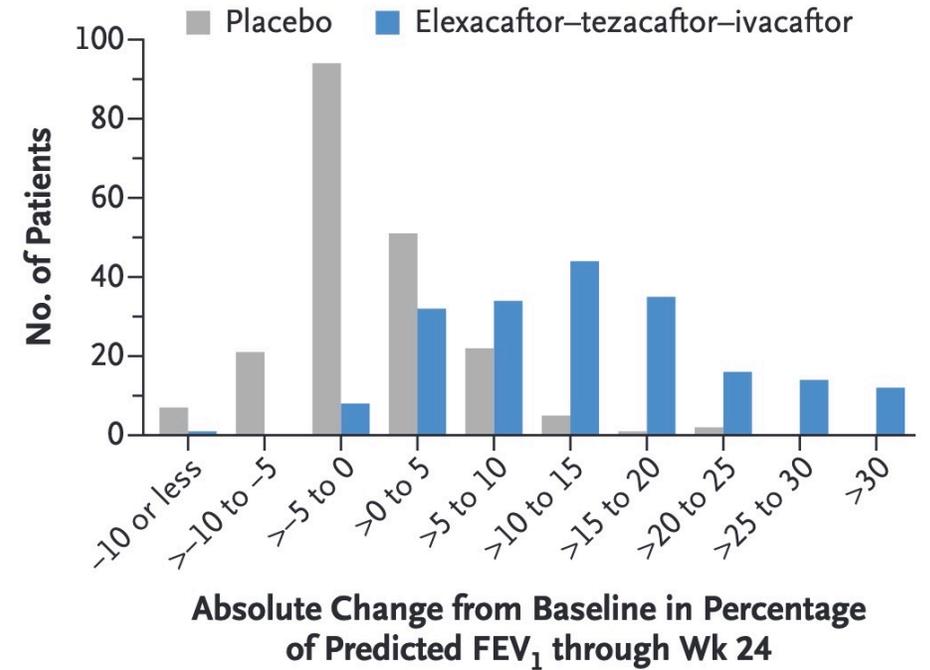


Elexacaftor – Tezacaftor – Ivacaftor (ETI) et VEMS

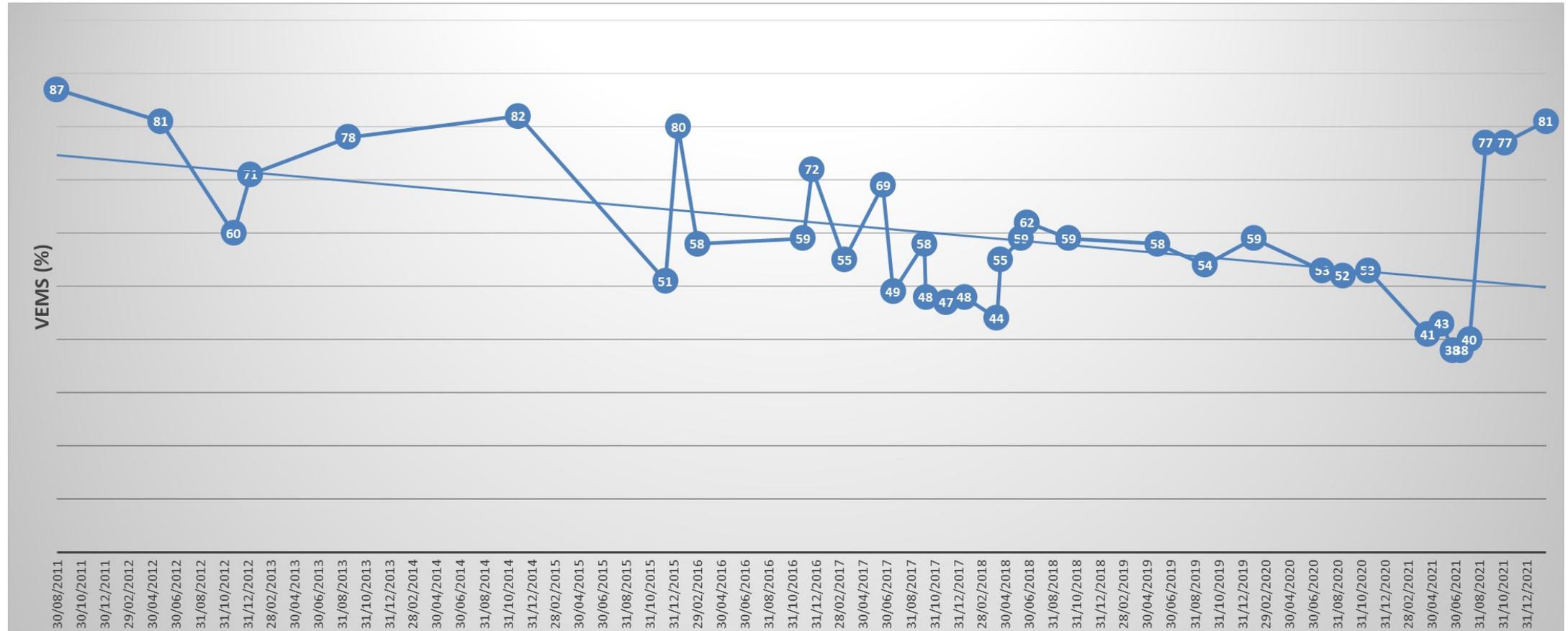
A Percentage of Predicted FEV₁, According to Visit



B Individual Responses with Respect to Percentage of Predicted FEV₁

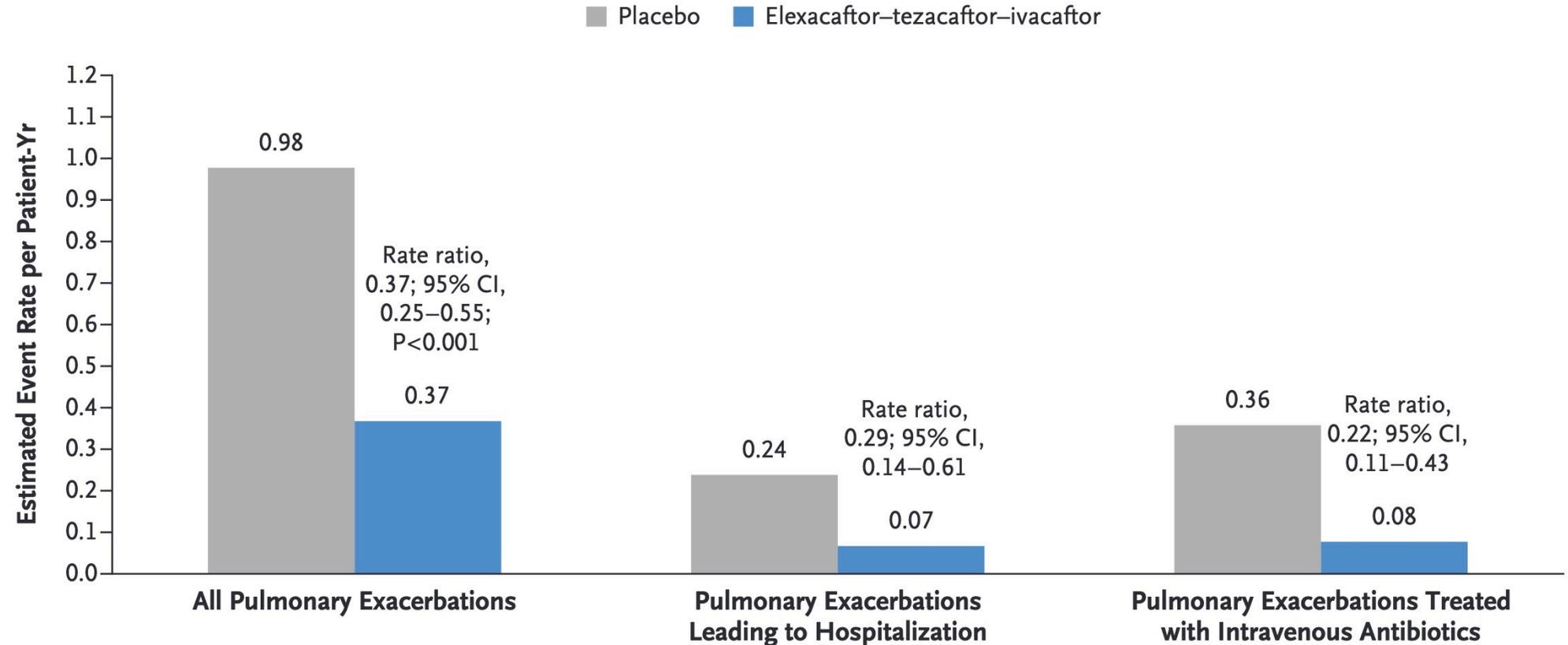


Elexacaftor – Tezacaftor – Vacaftor (ETD) et VEMS

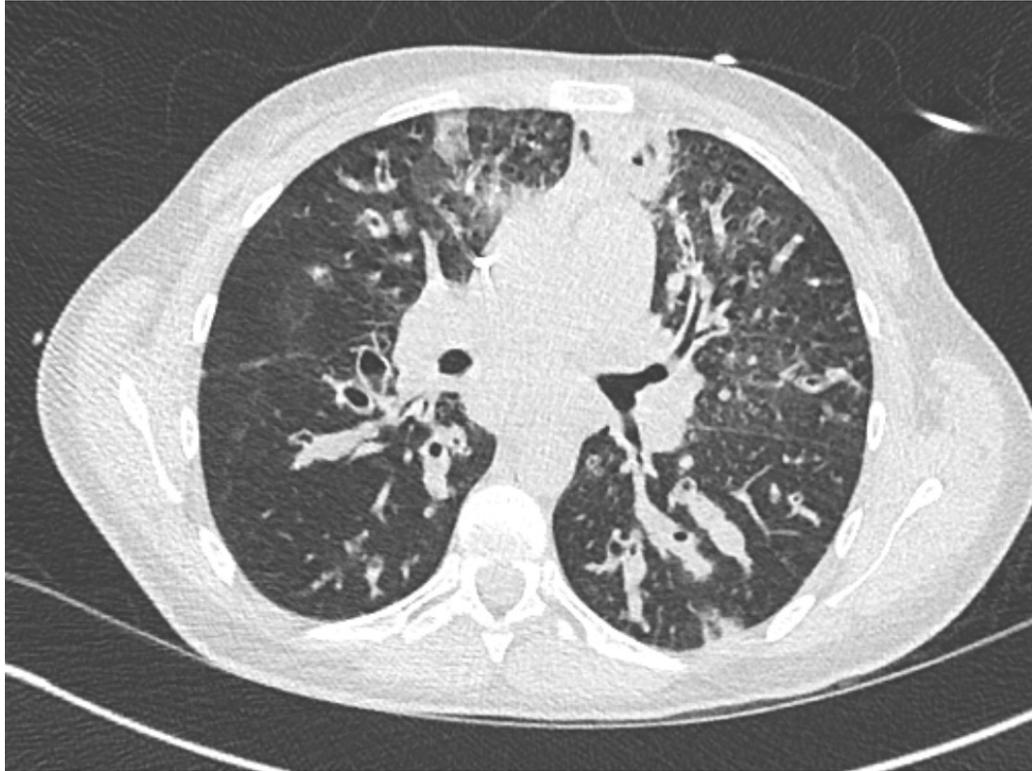


ET \square et exacerbations

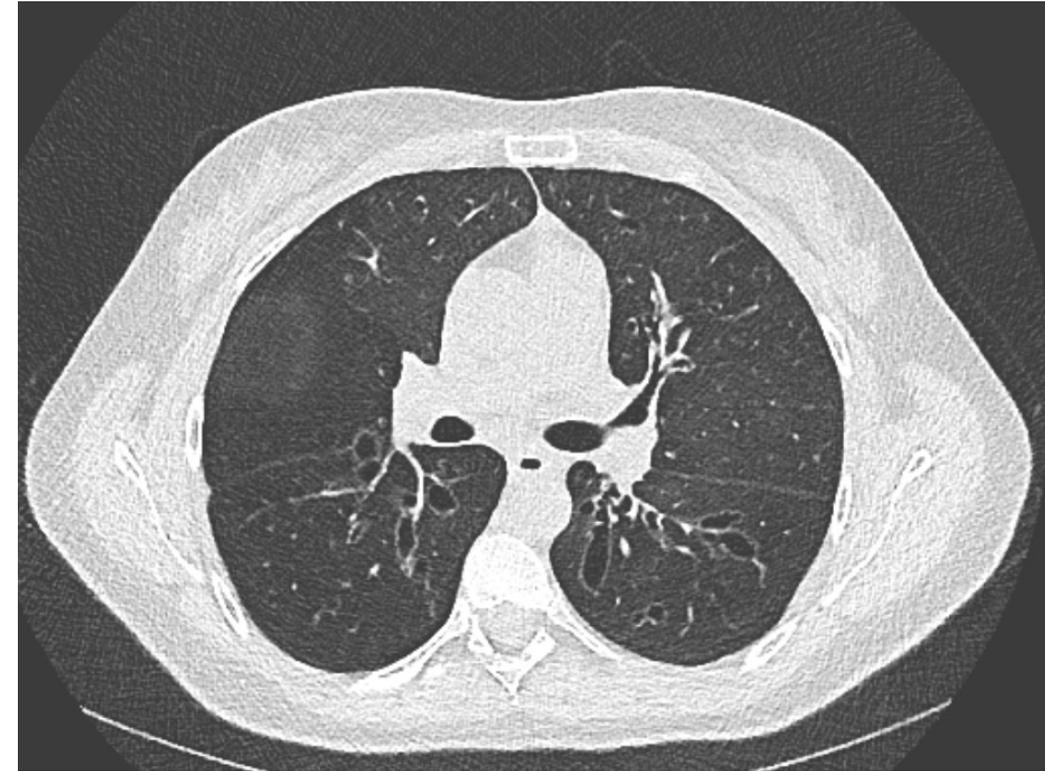
C Pulmonary Exacerbations



ET et exacerbations



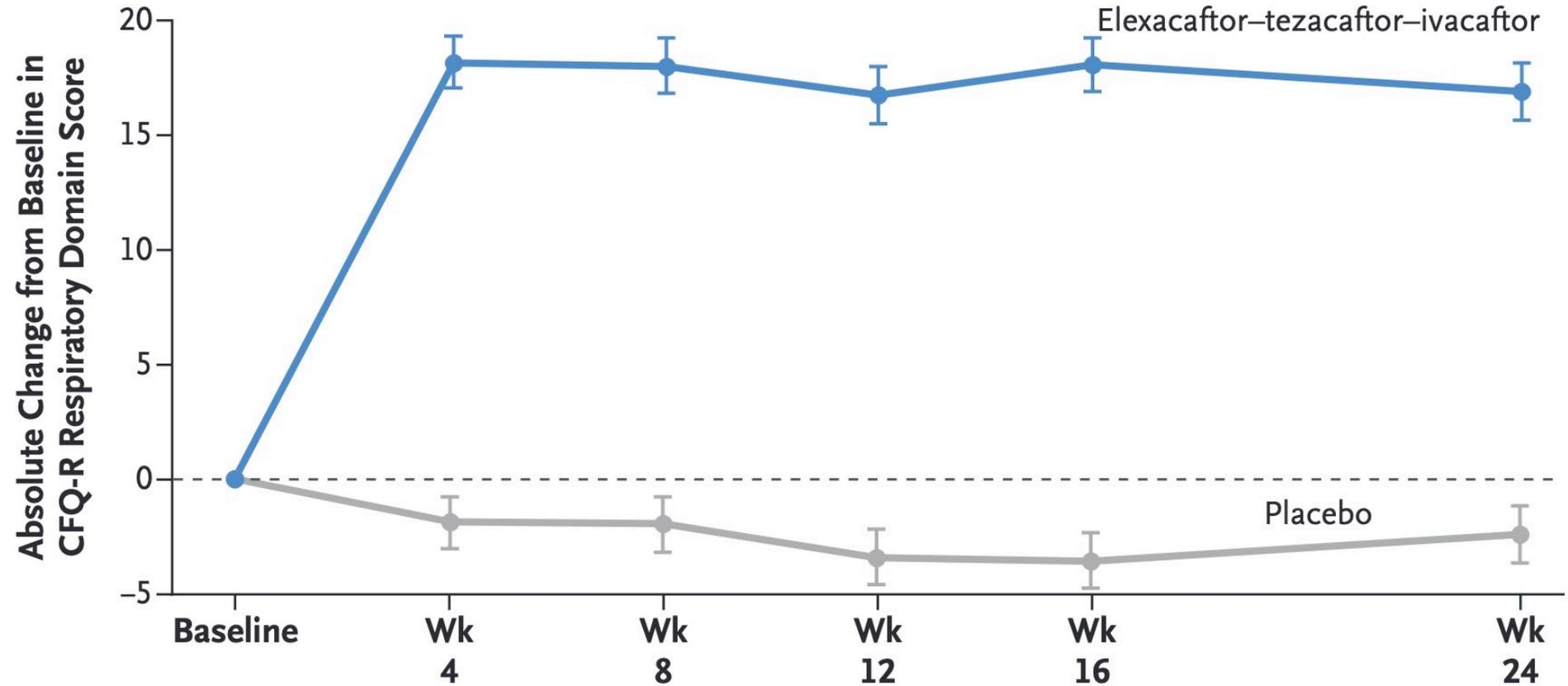
22/11/19



21/05/21

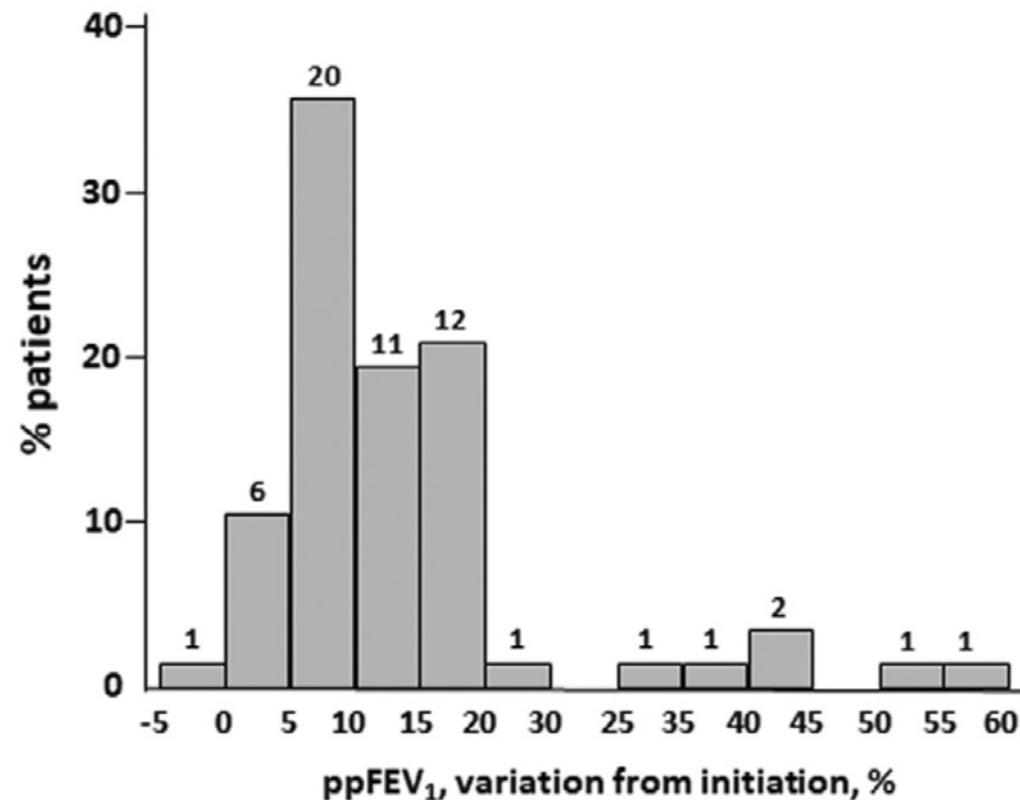
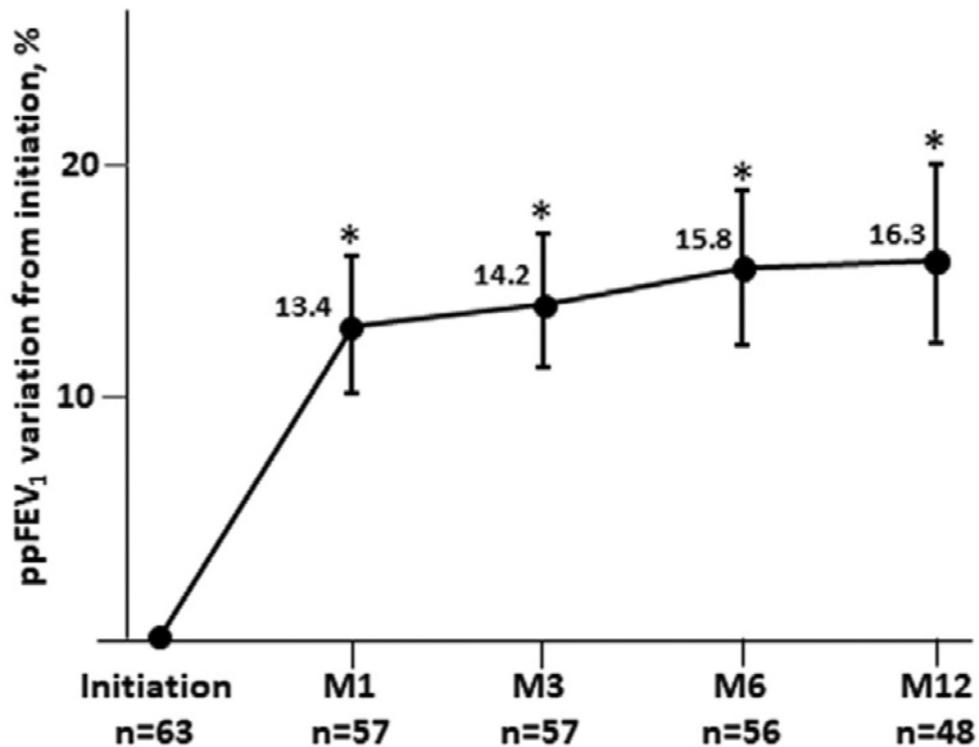


ET et qualité de vie



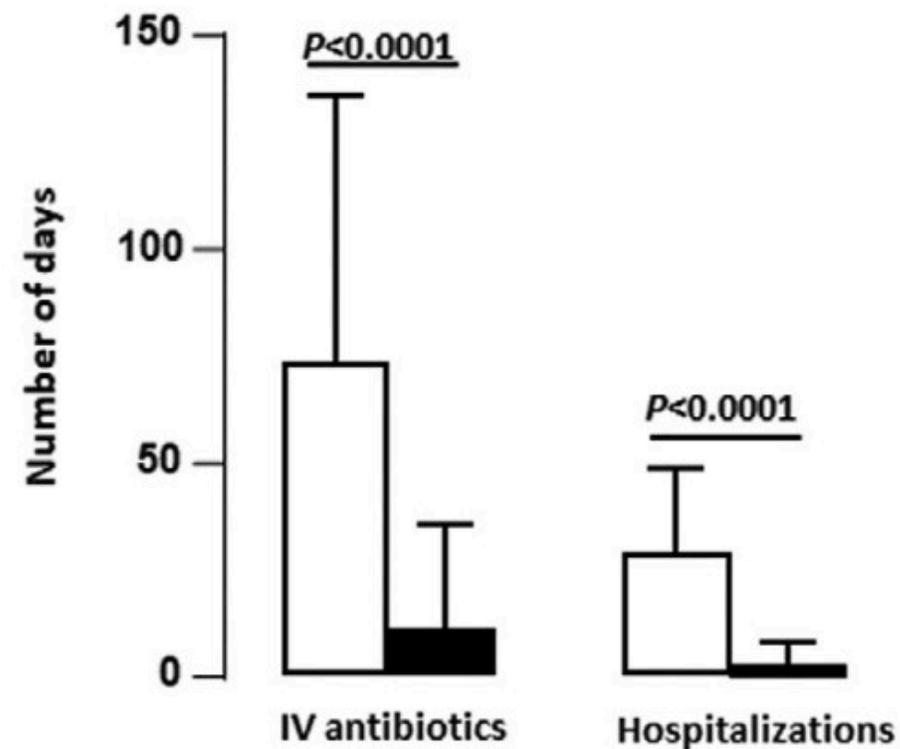
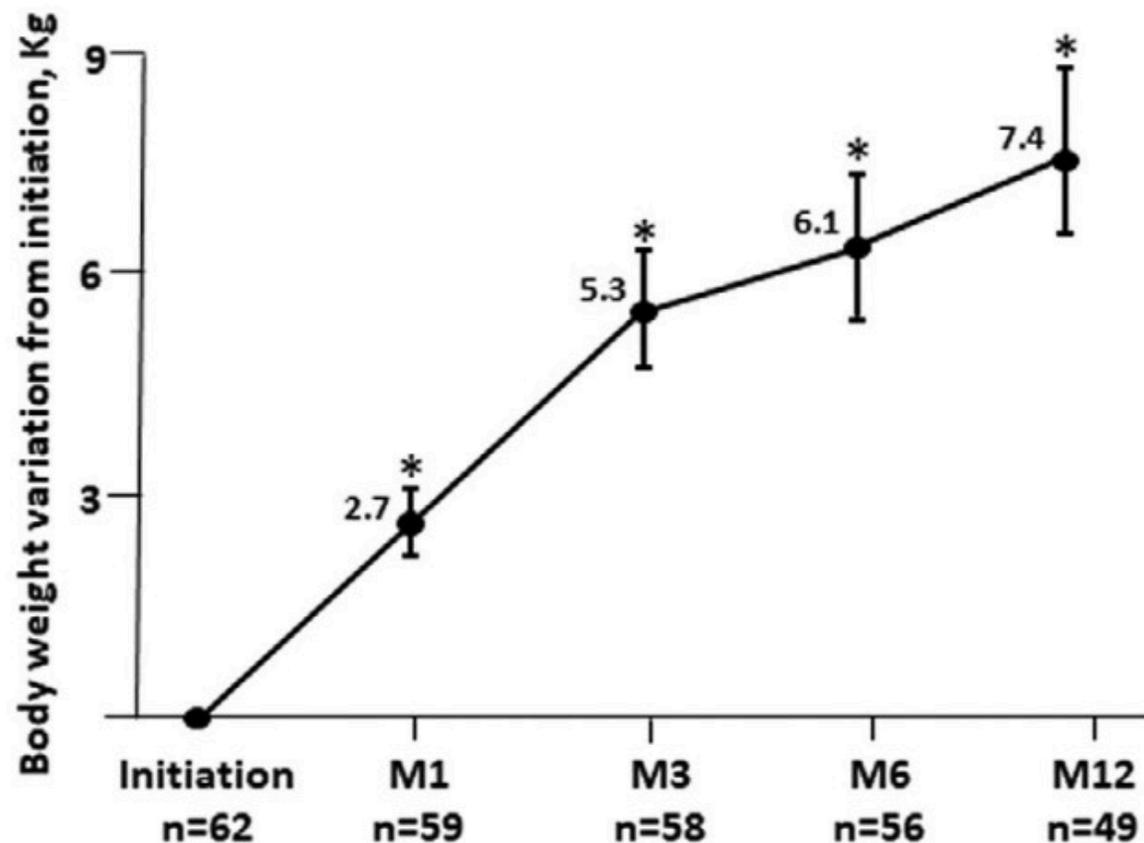


ET \square chez patients candidats à la greffe pulmonaire





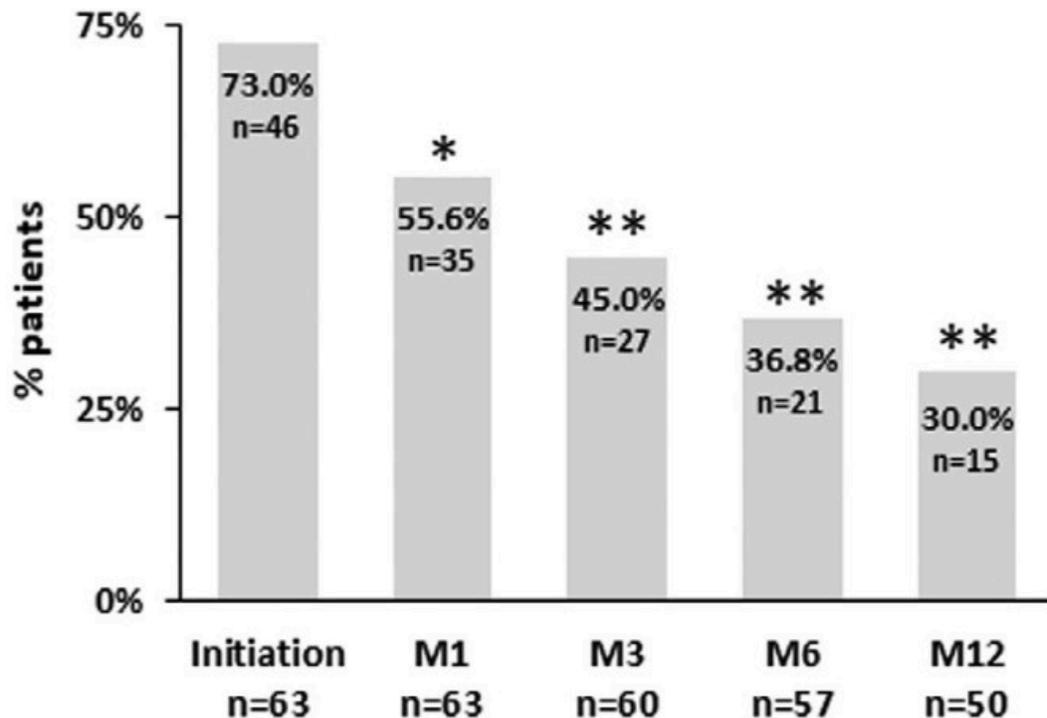
ET \square chez patients candidats à la greffe pulmonaire



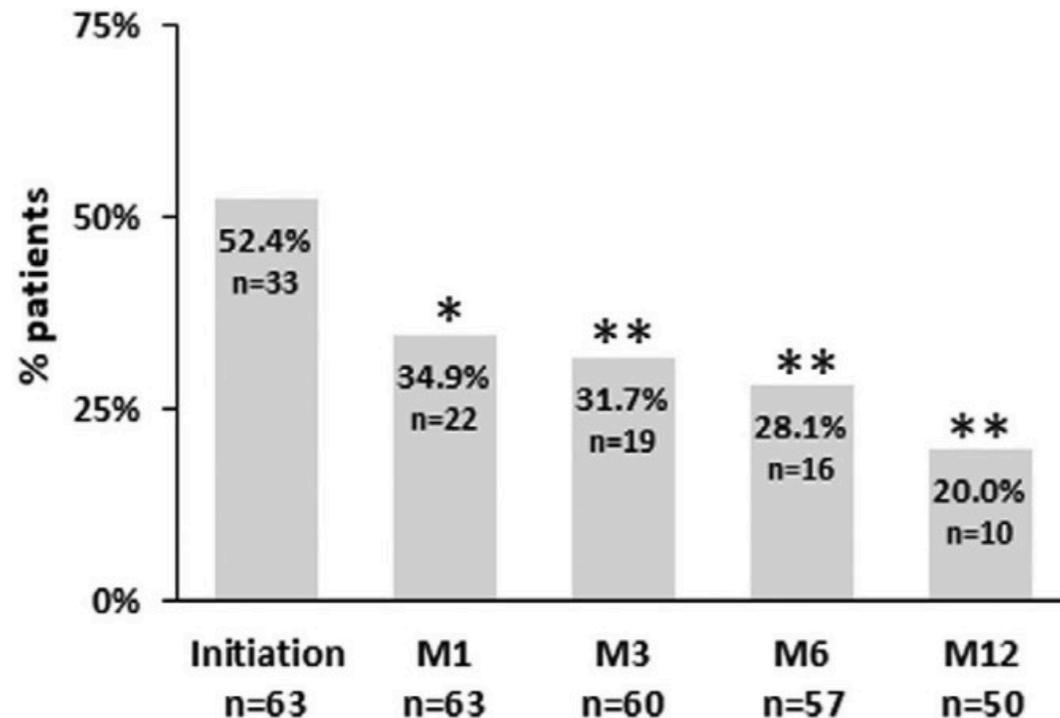


ET \square chez patients candidats à la greffe pulmonaire

A. Long Term Oxygen Therapy

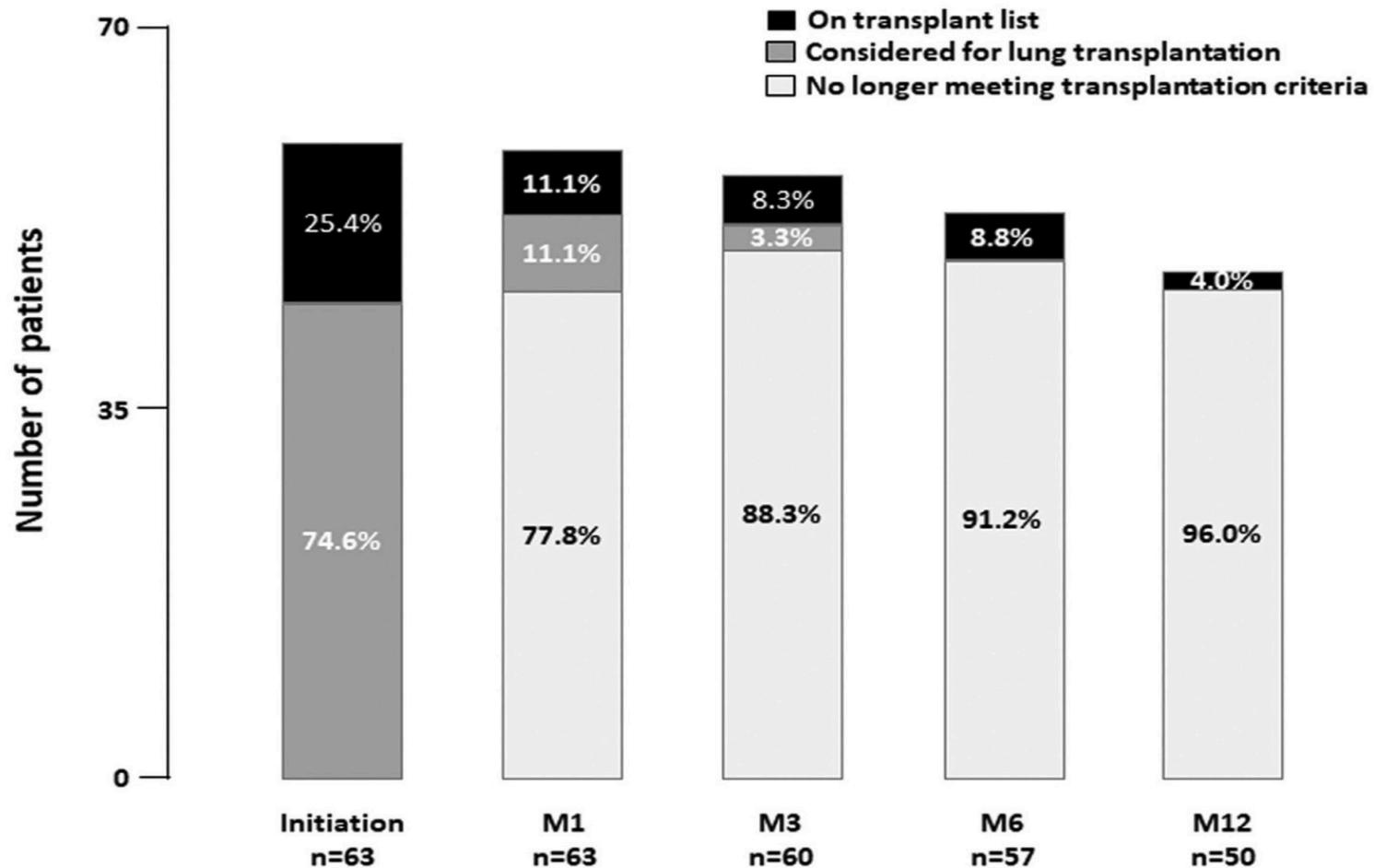


B. Non Invasive Ventilation

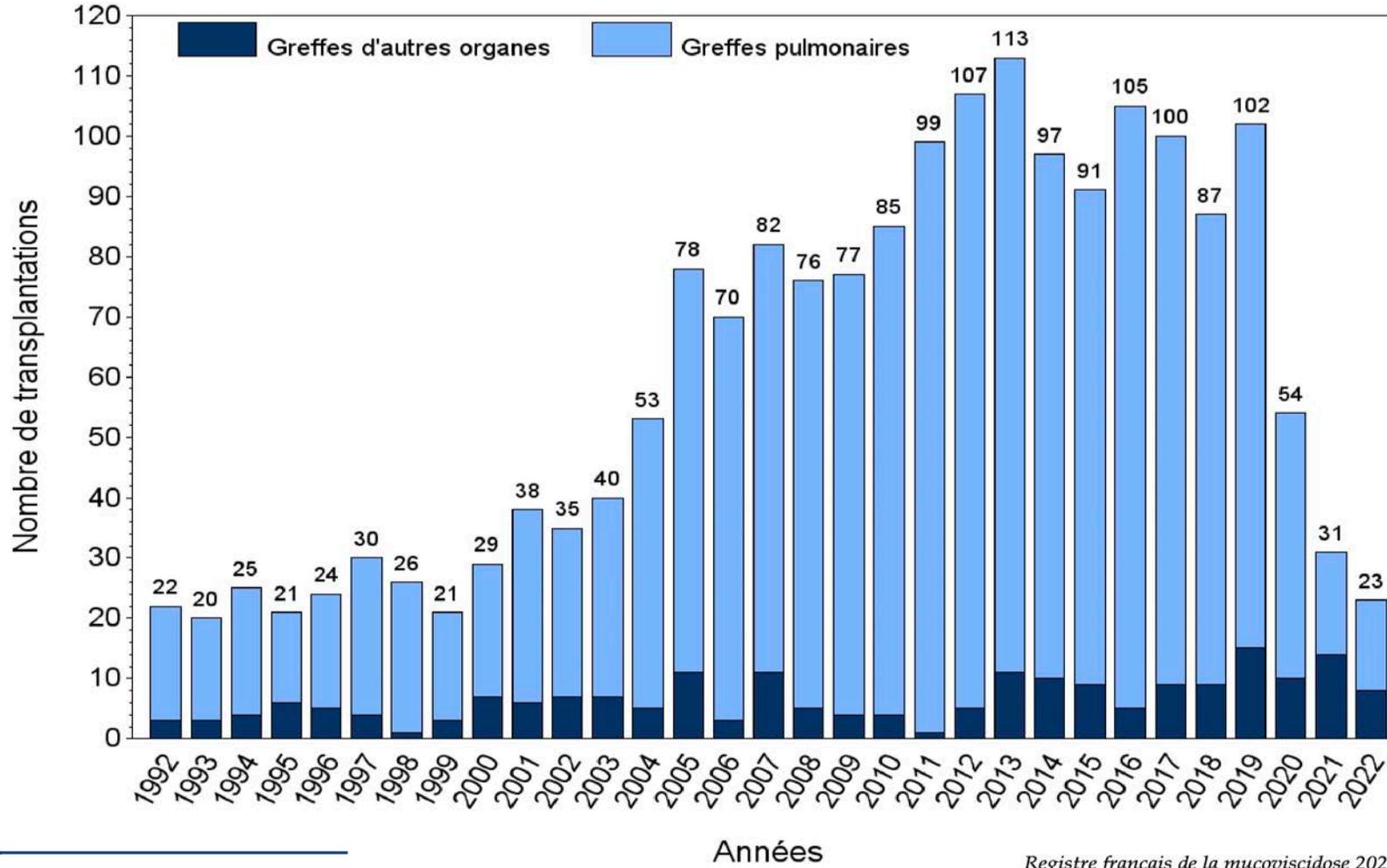




ETØchez patients candidats à la greffe pulmonaire



Une chute des transplantations pulmonaires



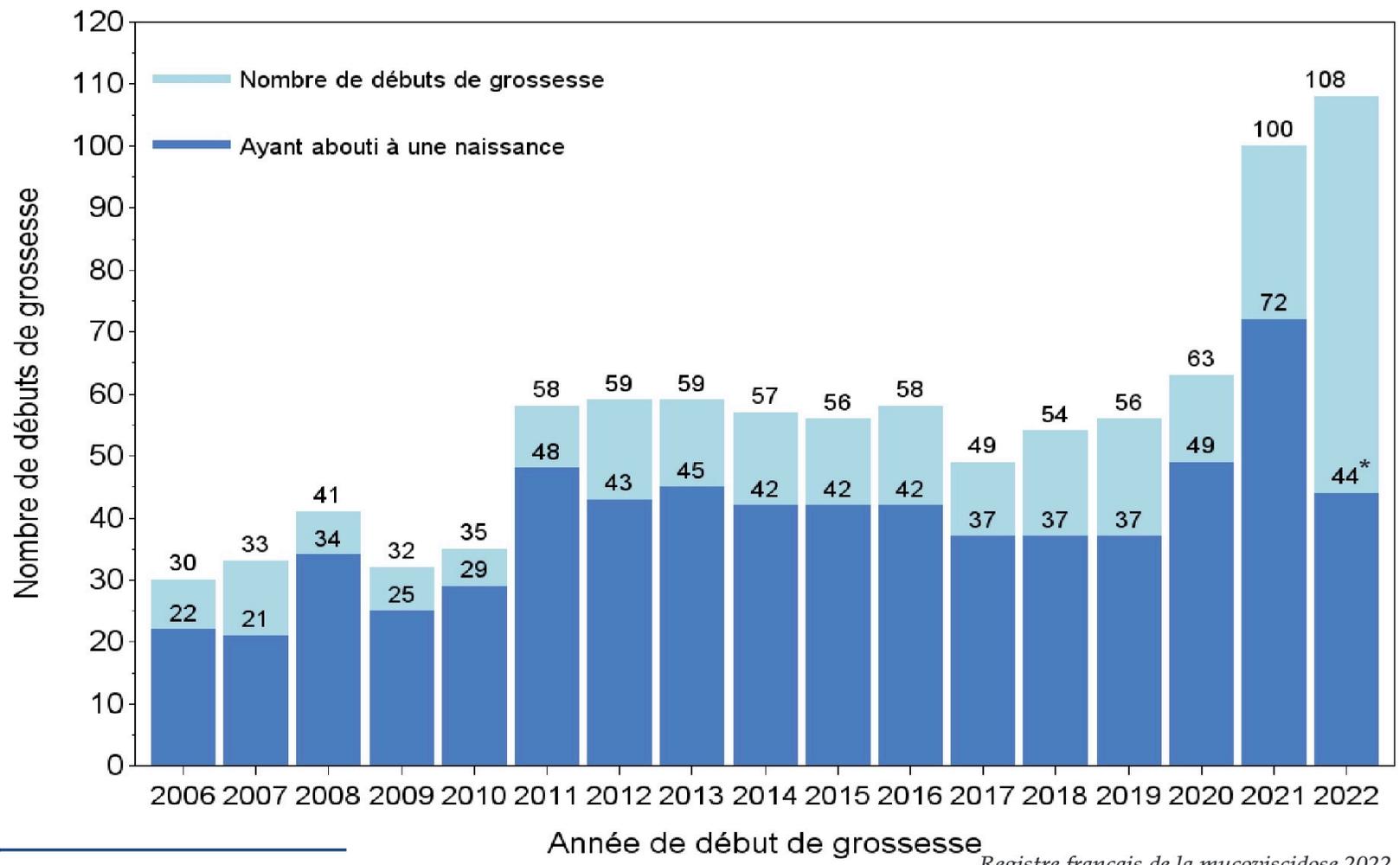
Registre français de la mucoviscidose 2022



Une reprise d'activité physique



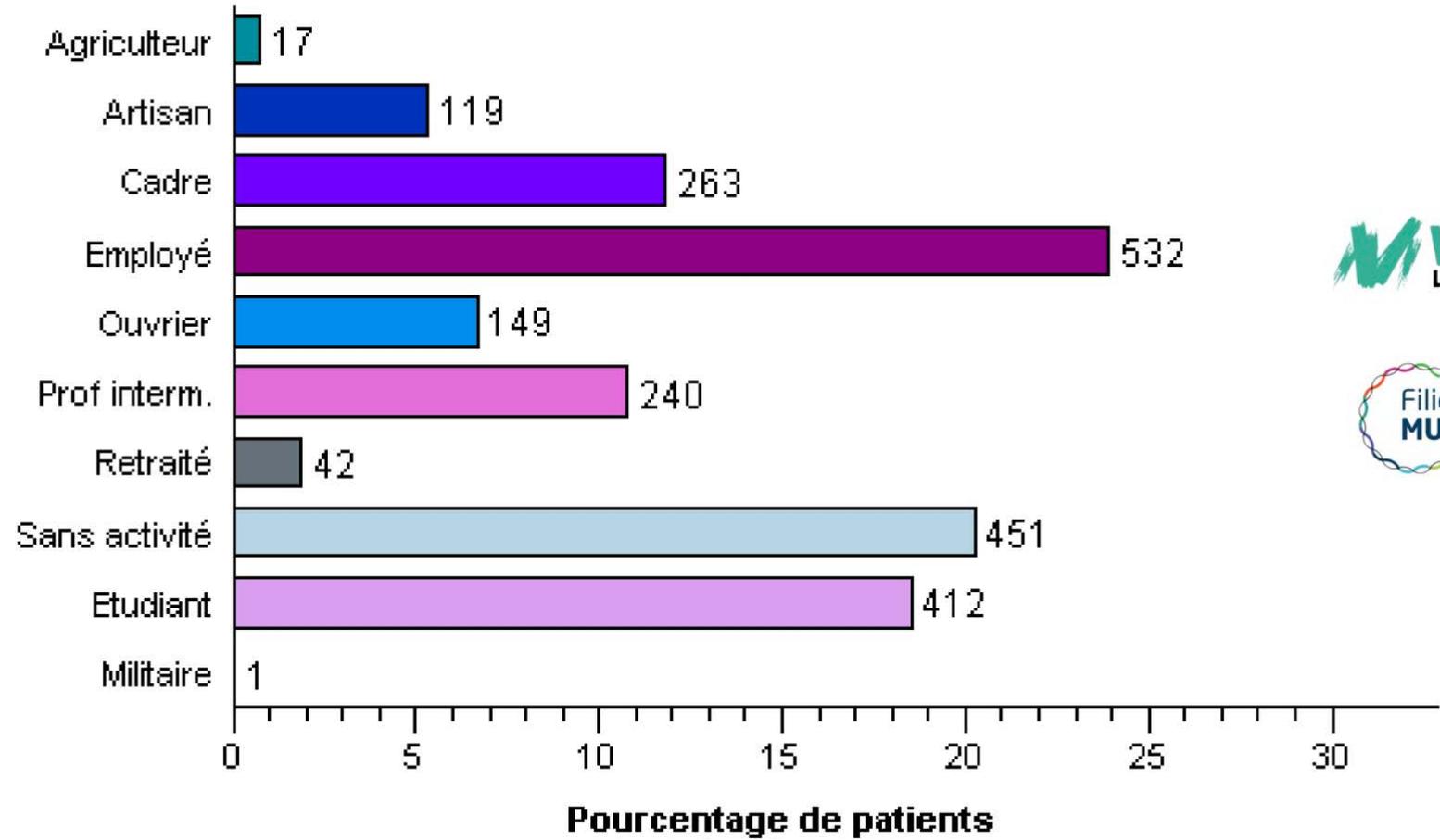
Un essor des grossesses



Registre français de la mucoviscidose 2022

Des projets professionnels

53% des hommes exercent une activité professionnelle



Registre français de la mucoviscidose 2022

Les mots des patients

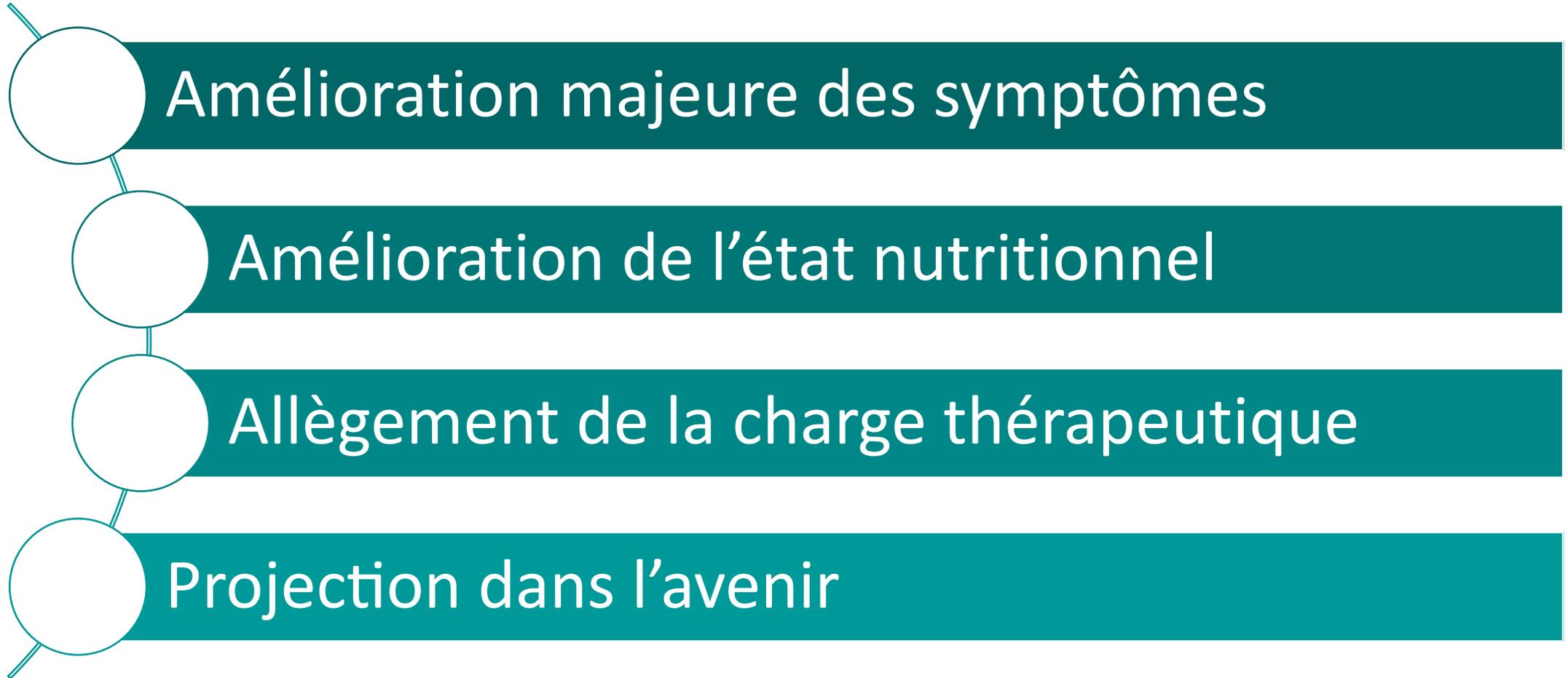
Je n'ai plus besoin de penser au retour quand je pars marcher sur la plage.

Je n'ai pas besoin de lutter pour faire les choses simples de la vie quotidienne.

J'ai retrouvé le plaisir de manger.

C'est quand ça va mieux qu'on se rend compte des efforts qu'on réalisait pour s'adapter.

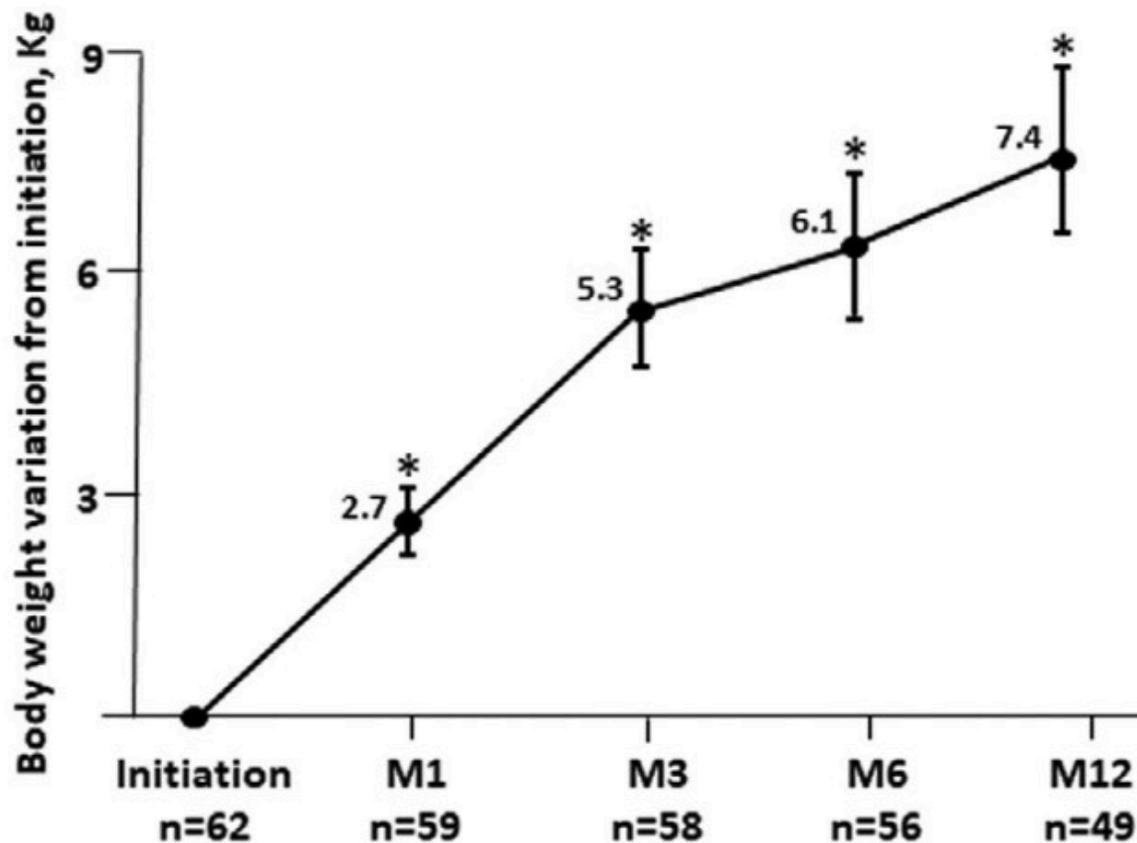
Un gain de vie



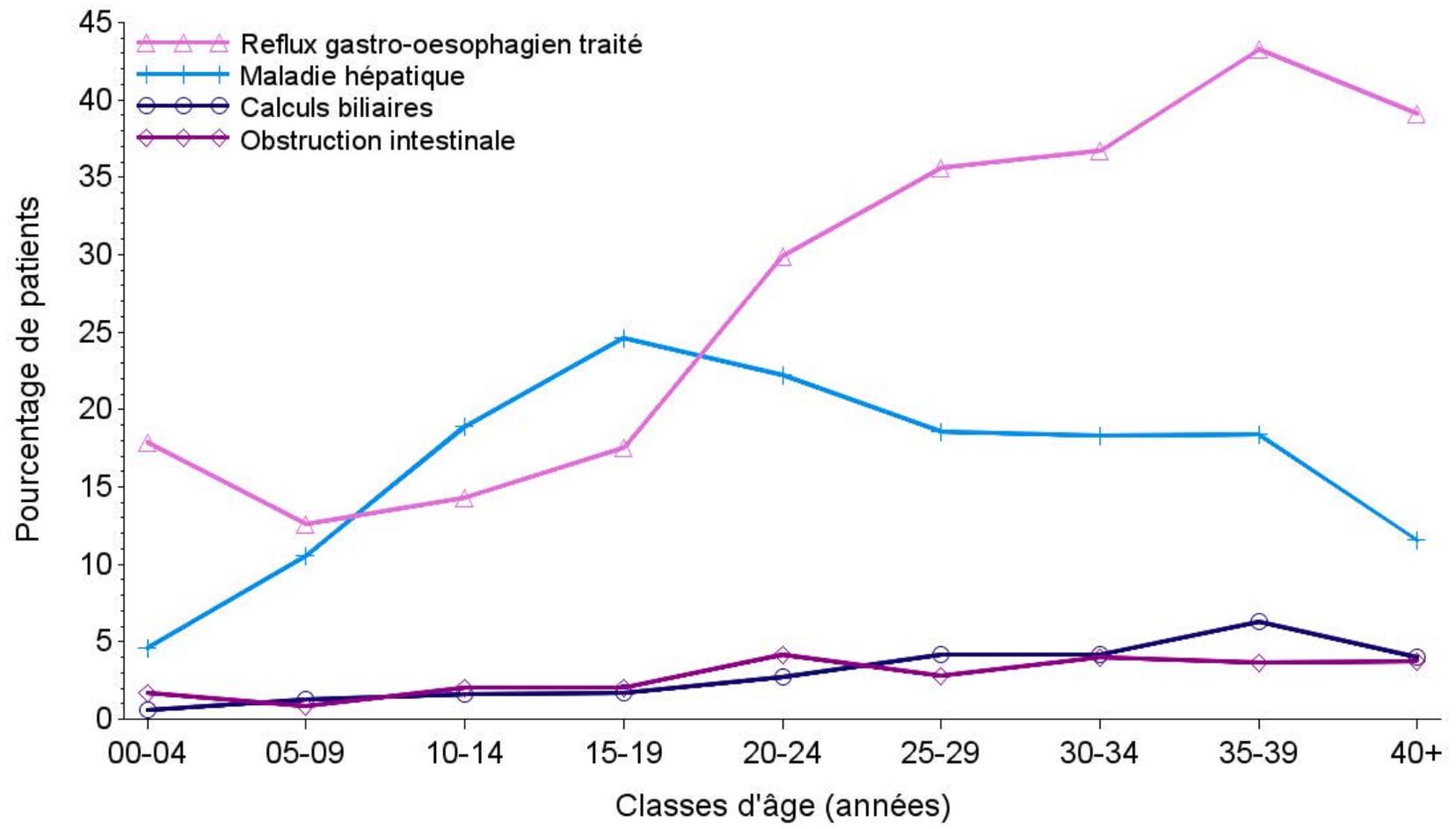
Mais...



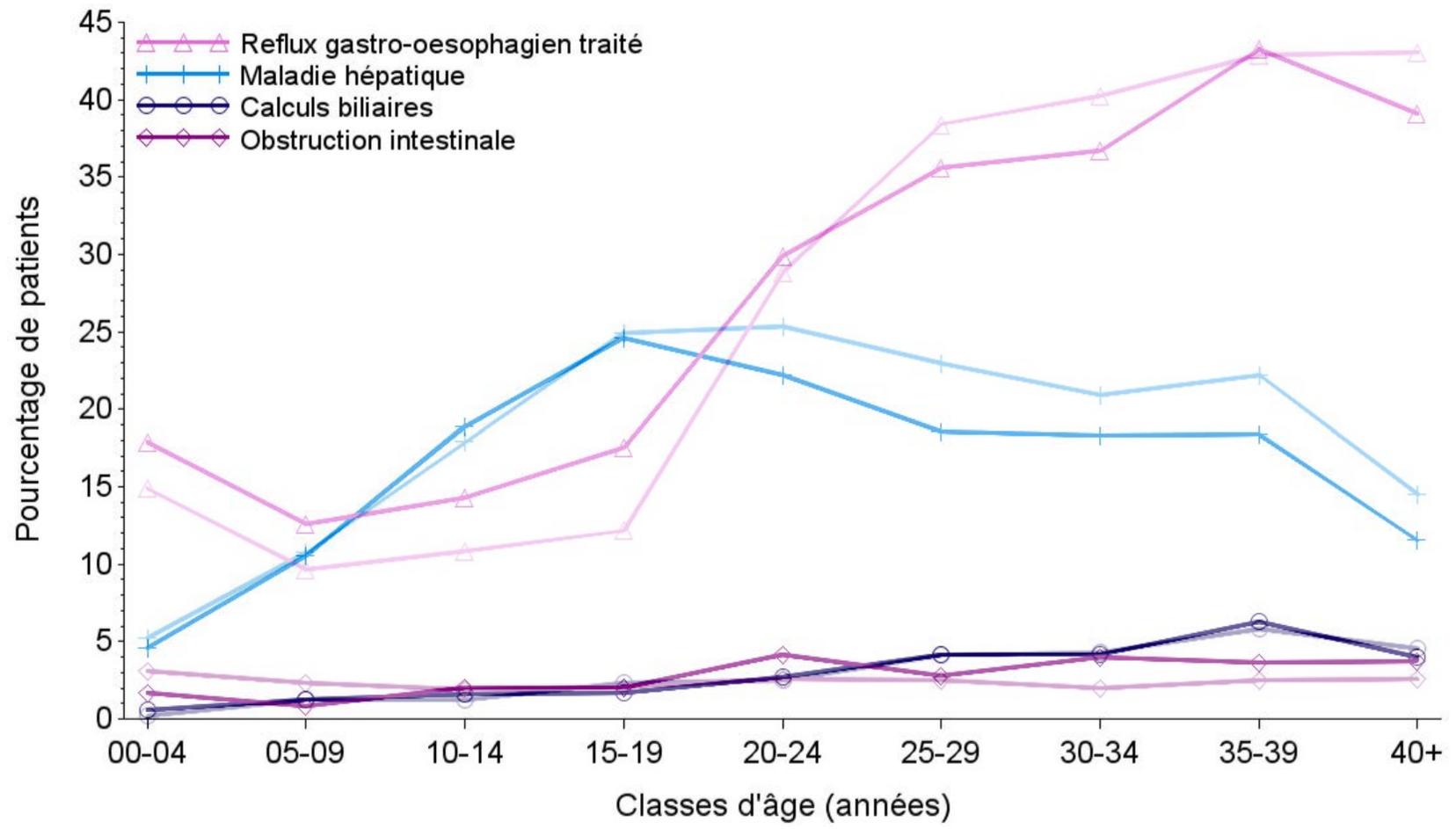
Changements d'habitudes alimentaires



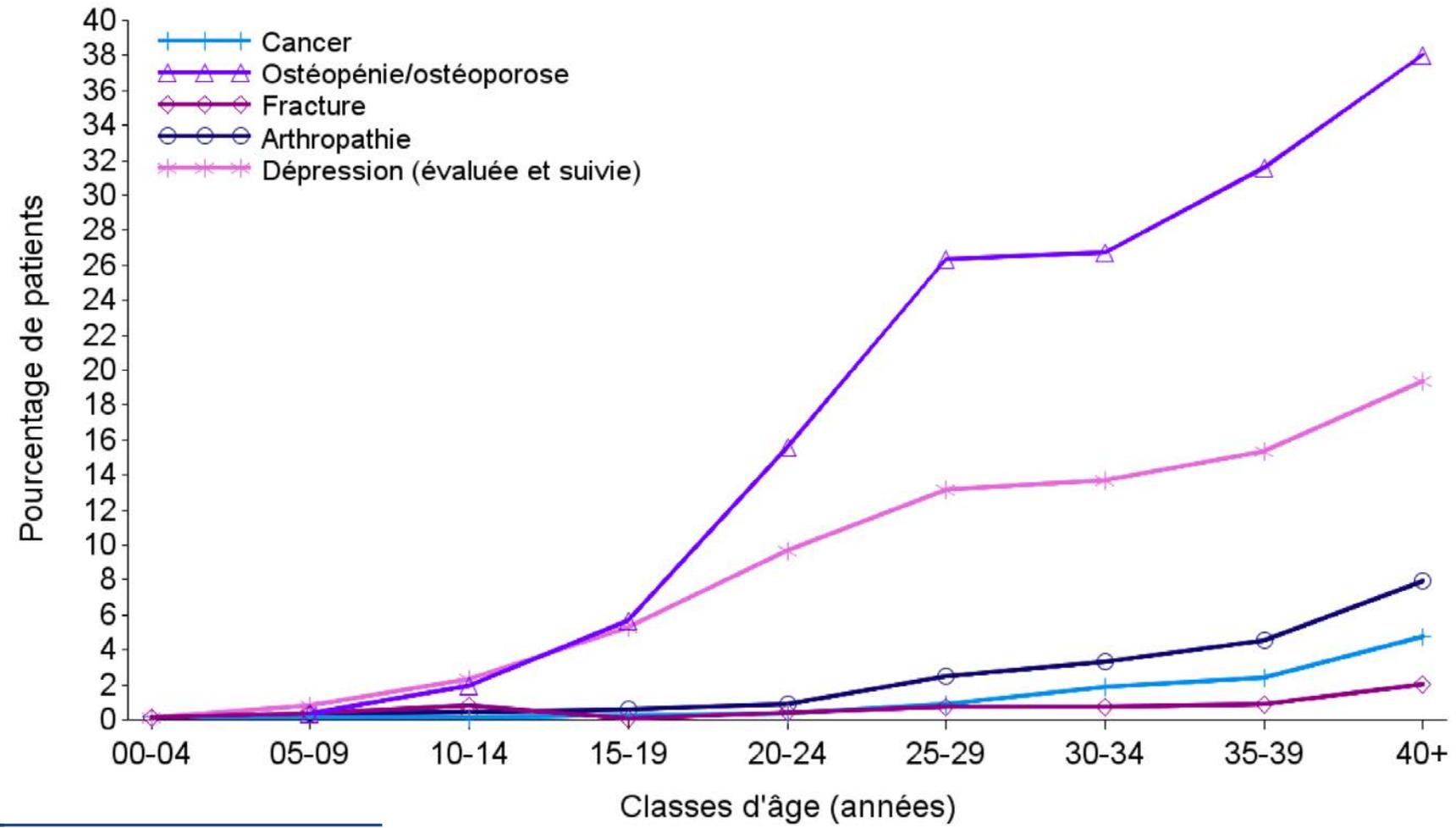
Des comorbidités qui augmentent



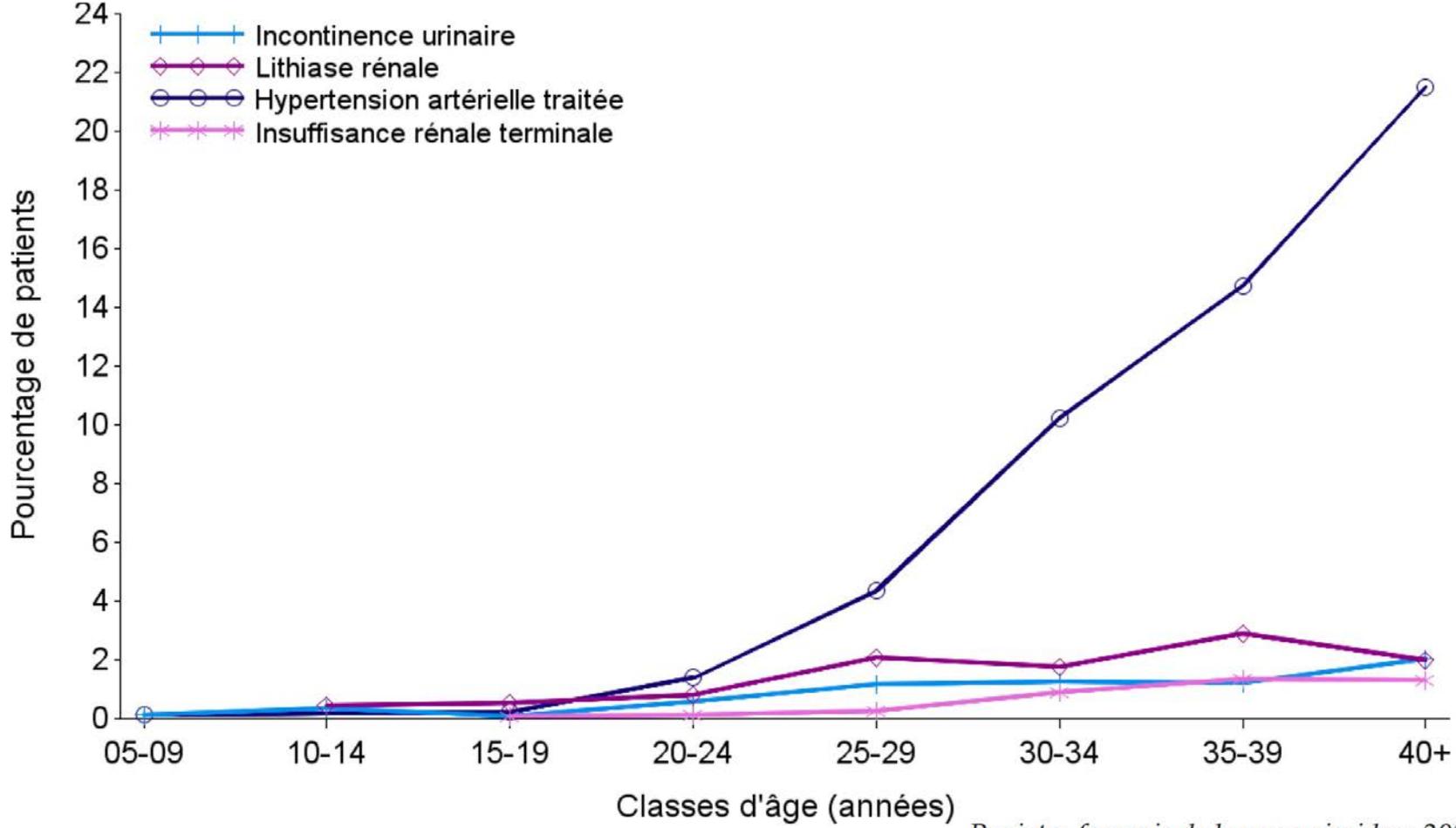
Des comorbidités qui augmentent



Les comorbidités liées à l'allongement de la vie



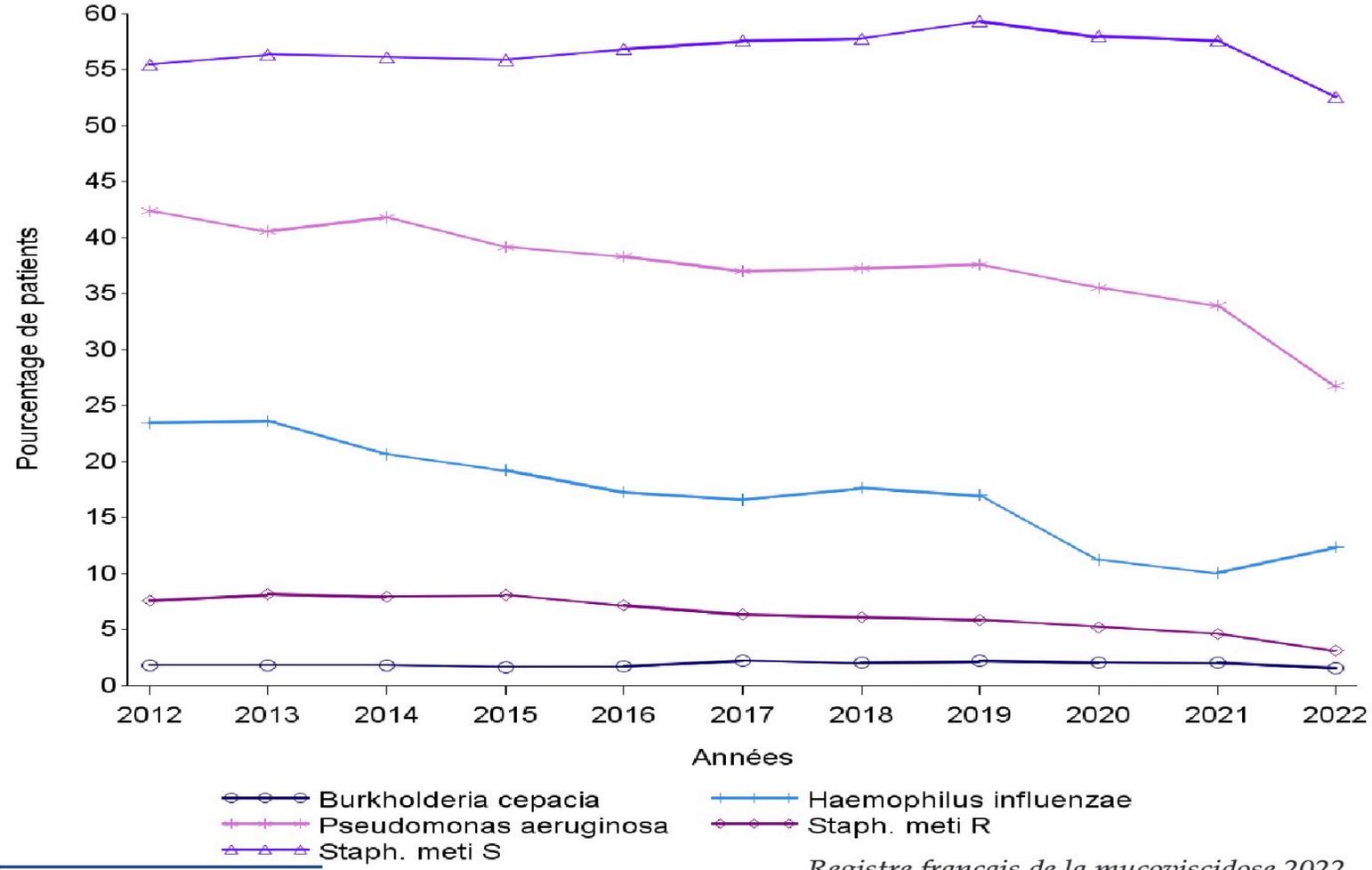
Les comorbidités liées à l'allongement de la vie



Registre français de la mucoviscidose 2022



Un suivi microbiologique plus complexe



Registre français de la mucoviscidose 2022





Des effets indésirables

- Cytolyse hépatique
- Augmentation de la bilirubine
- Rash cutané
 - Plus fréquent chez la femme sous contraceptifs hormonaux systémiques
- Interactions médicamenteuses
- Cataracte (pédiatrie++)
- Trouble du sommeil
- Trouble thymique

Most common side effects experienced in a 24-week study in people taking TRIKAFTA compared with those taking placebo	TRIKAFTA (n=202)	Placebo (n=201)
Headache	17%	15%
Upper respiratory tract infection (common cold)	16%	12%
Stomach (abdominal) pain	14%	9%
Diarrhea	13%	7%
Rash	10%	5%
Increase in a liver enzyme called alanine aminotransferase (ALT) [†]	10%	3%
Nasal congestion	9%	7%
Increase in a blood enzyme called creatine phosphokinase (CPK) [‡]	9%	4%
Increase in a liver enzyme called aspartate aminotransferase (AST) [†]	9%	2%

Des effets indésirables connus



Des effets indésirables à préciser

[Front Pharmacol.](#) 2023; 14: 1179208.

PMCID: PMC10160464

Published online 2023 Apr 21. doi: [10.3389/fphar.2023.1179208](https://doi.org/10.3389/fphar.2023.1179208) 

PMID: [37153809](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37153809/)

Effects of elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor therapy on mental health of patients with cystic fibrosis

[Linus Piehler](#),^{1,†} [Ralf Thalemann](#),^{1,†} [Christine Lehmann](#),¹ [Stephanie Thee](#),^{1,2,3} [Jobst Röhmel](#),^{1,2,3}
[Zulfiya Syunyaeva](#),¹ [Mirjam Stahl](#),^{1,2,3,‡} [Marcus A. Mall](#),^{1,2,3,‡} and [Simon Y. Graeber](#)^{✉1,2,3,*‡}

[Am J Respir Crit Care Med.](#) 2024 Feb 1; 209(3): 299–306.

PMCID: PMC10840763

Published online 2023 Oct 27. doi: [10.1164/rccm.202308-1525OC](https://doi.org/10.1164/rccm.202308-1525OC)

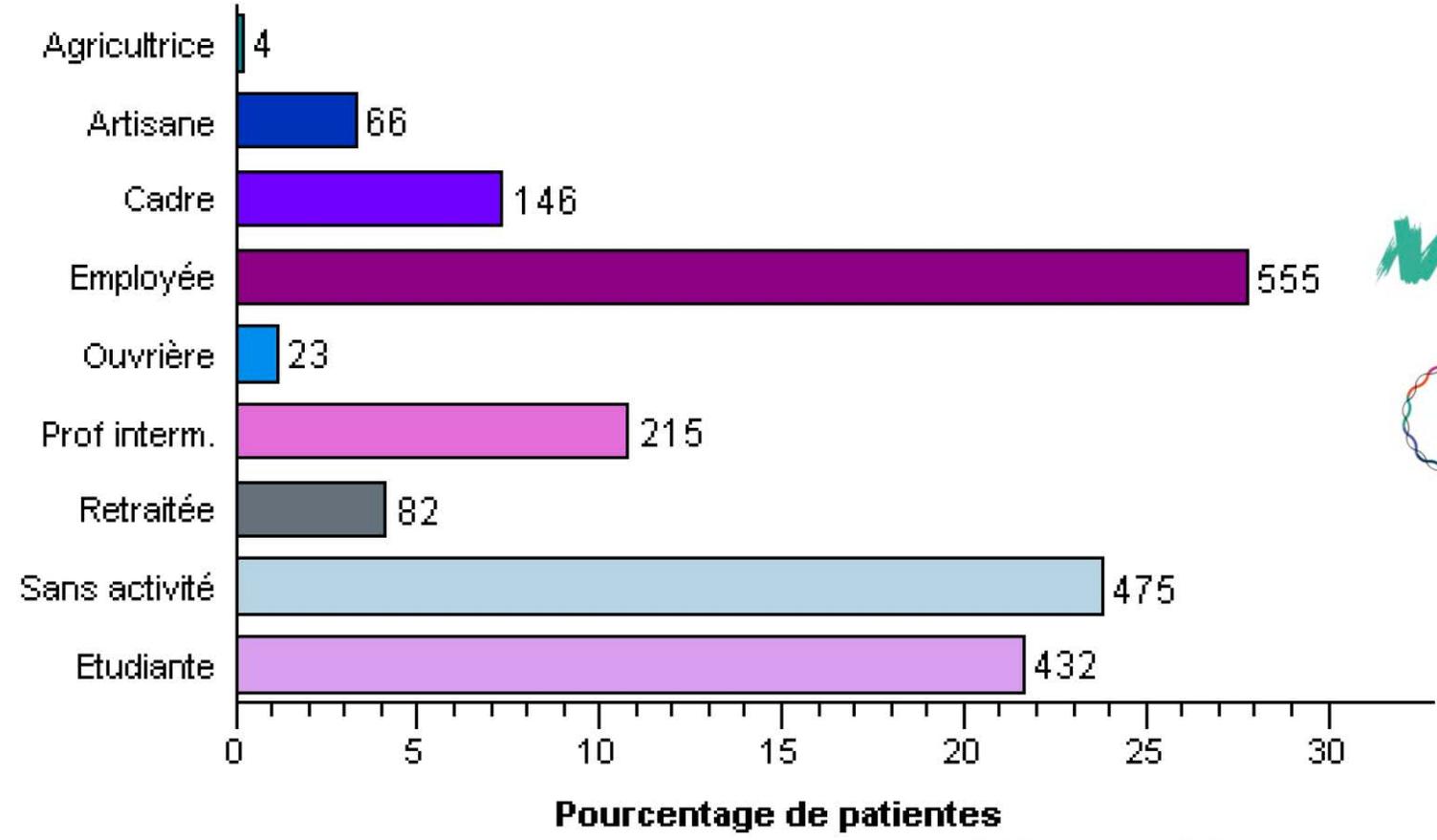
PMID: [37890129](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37890129/)

Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor Treatment and Depression-related Events

[Bonnie Ramsey](#),^{✉1} [Christoph U. Correll](#),^{2,3,4,5} [David R. DeMaso](#),⁶ [Edward McKone](#),⁷ [Elizabeth Tullis](#),⁸
[Jennifer L. Taylor-Cousar](#),⁹ [Chenghao Chu](#),¹⁰ [Nataliya Volkova](#),¹⁰ [Neil Ahluwalia](#),¹⁰ [David Waltz](#),¹⁰ [Simon Tian](#),¹⁰ and
[Marcus A. Mall](#)^{11,12}

Des projets professionnels à reconstruire

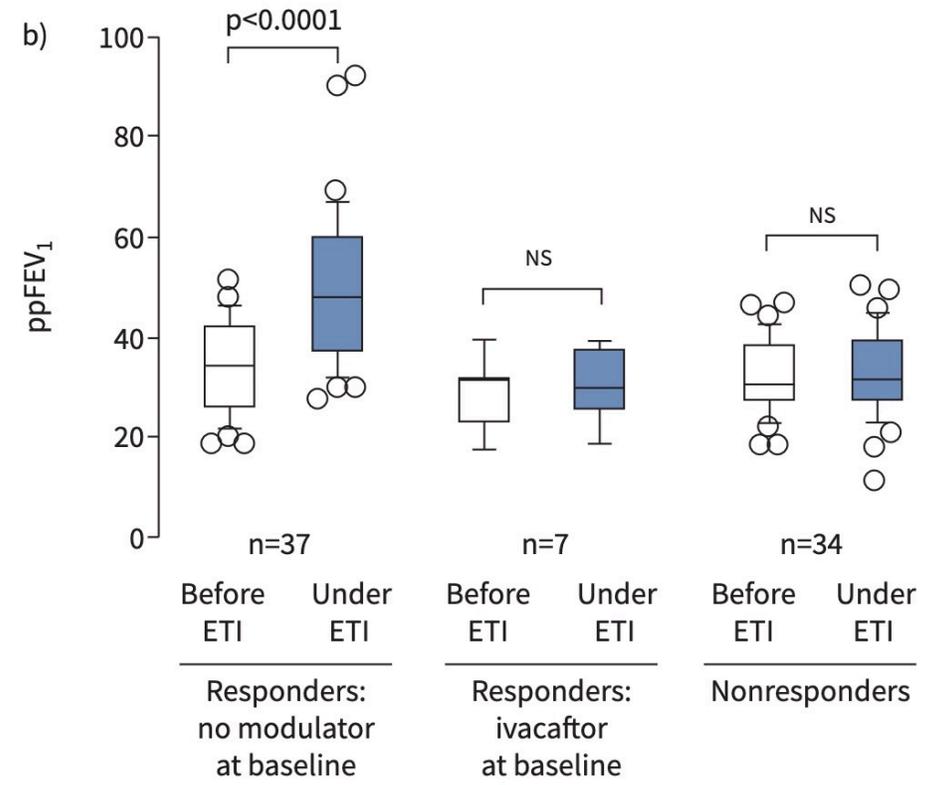
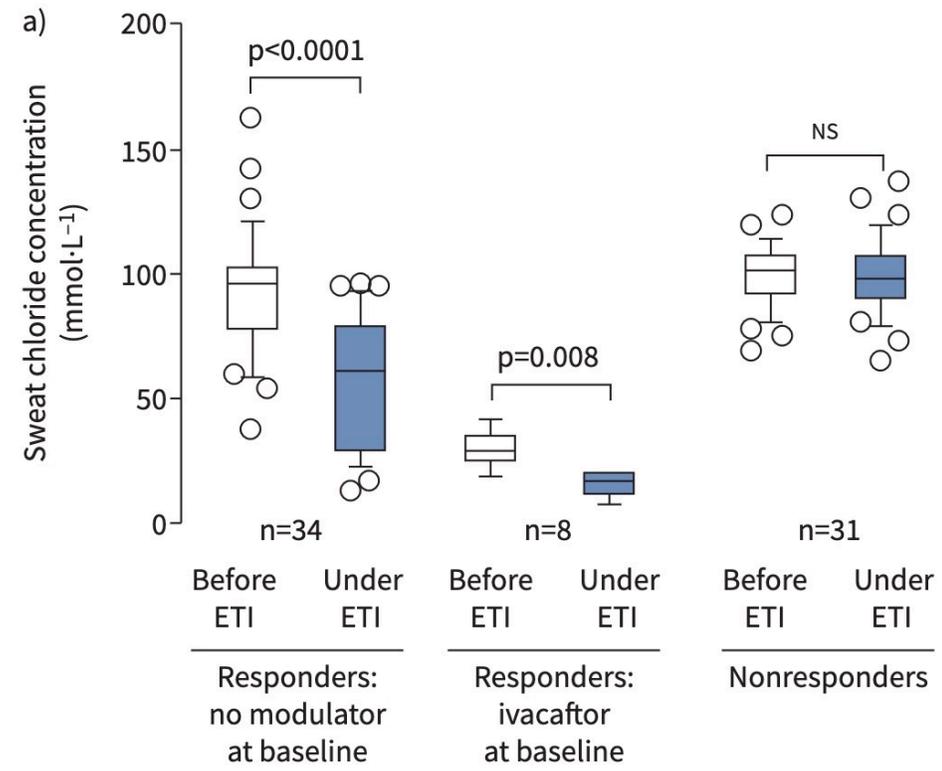
46,5% des femmes exercent une activité professionnelle



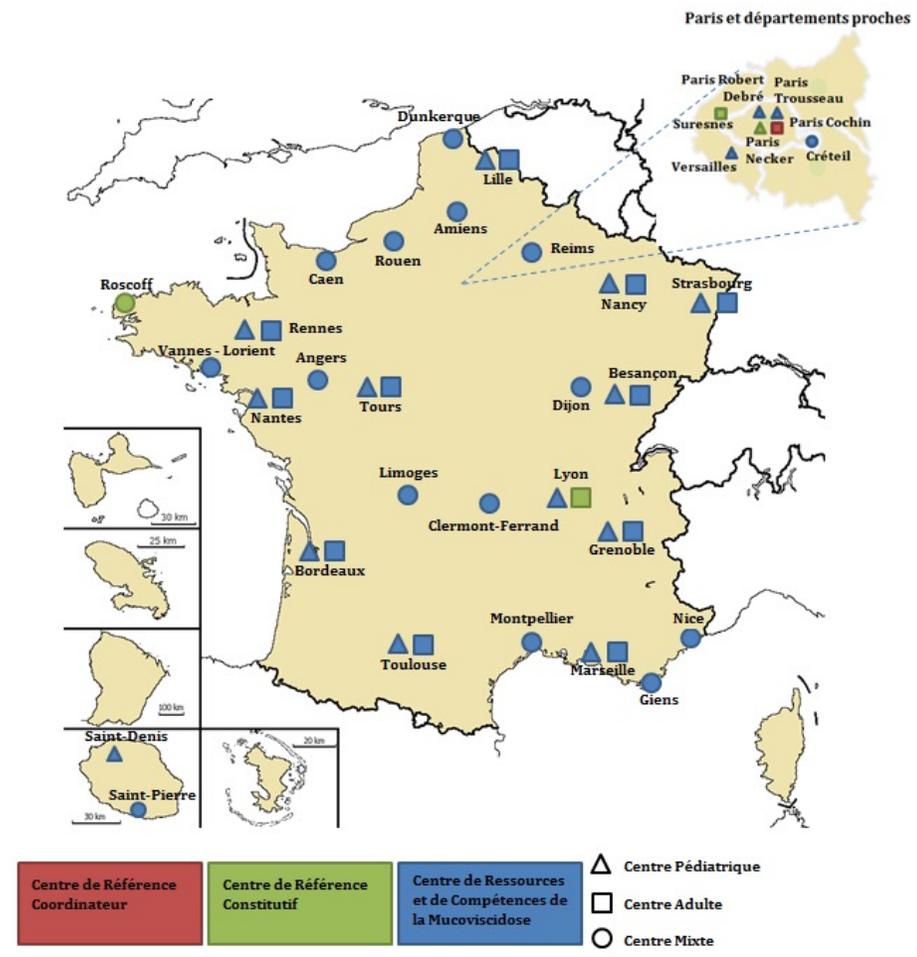
Registre français de la mucoviscidose 2022



Des patients non éligibles



Réorganiser les CRCM



Projet HORIZON

Les maux des patients

Je ne me reconnais plus, j'ai grossi trop vite.

J'ai changé trop vite, je perds mes repères.

J'ai peur que la muco revienne, que le traitement ne fonctionne plus avec le temps.

Une vigilance à maintenir

- Des comorbidités nouvelles
- Des effets indésirables à surveiller
- Reconstruire projet de vie
- Des CRCM à réorganiser



Merci de votre attention

olivier.lerouzig@univ-lille.fr

