

48th EUROPEAN CYSTIC FIBROSIS CONFERENCE

4 – 7 JUNE 2025 | MILAN, ITALY

Étude en vie réelle de l'Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor chez les enfants d'âge scolaire atteints de mucoviscidose

A. Le¹ , AS. Bonnel¹ , A I. Letierce, Sermet-Gaudelus¹ , Modul-CF groupe

¹Necker Enfants Malades Hospital, Paris France



INTRODUCTION

CONTEXTE

Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) améliore le chlorure sudoral, la fonction pulmonaire, la nutrition et la qualité de vie des personnes atteintes de mucoviscidose (FK). Cependant, les données manquent dans la population d'âge scolaire.

OBJECTIFS

MODUL-CF est une étude en situation réelle de la cohorte pédiatrique française traitée par ETI dans les 34 centres français de mucoviscidose (CRCM) afin de mesurer l'impact de l'ETI chez les enfants et les adolescents atteints de mucoviscidose.

Ce résumé se concentre sur la cohorte d'âge scolaire.



INTRODUCTION

METHODES

Les participants étaient âgés de 6 à 12 ans, homozygotes pour la mutation F508del et traités auparavant par Orkambi ou hétérozygotes pour F508del et naïfs de modulateurs.

Les participants étaient recrutés à l'initiation de l'ETI et suivis pendant 12 mois après l'initiation de l'ETI.

Critères d'évaluation étudiés :

- Au départ, à 1, 3, 6 et 12 mois :
 - ✓ Poids/taille
 - ✓ Epreuves fonctionnelles respiratoires (EFR) incluant le volume expiratoire forcé en 1 seconde (VEMS), la capacité vitale forcée (CVF), le débit expiratoire forcé à 25-75 (DFE25-75) et l'index de clairance pulmonaire (LCI)
- Au départ et à 12 mois : scanner thoracique, échographie abdominale
- Au départ, à 1 et 12 mois : test de la sueur

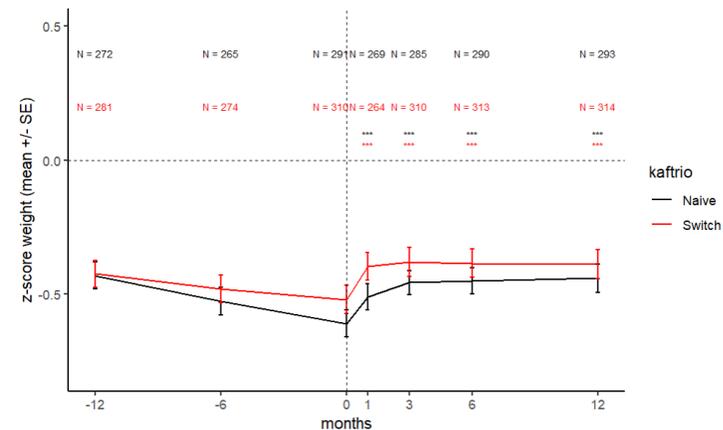
RESULTATS

POPULATION

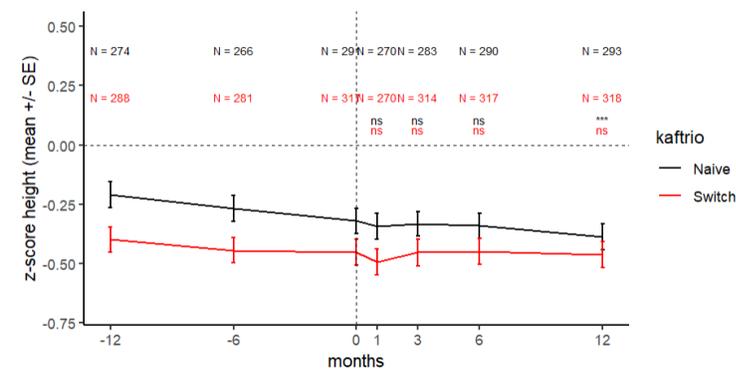
- 675 enfants
- Âge moyen 8,6 (1,9) ans
- 47,5% étaient homozygotes F508del et avaient été traités par Orkambi.

CROISSANCE STATURO-PONDERALE

- Amélioration significative du poids (Z-score) de -0,59 (0,98) à -0,44 (1) ($p < 0,0001$).



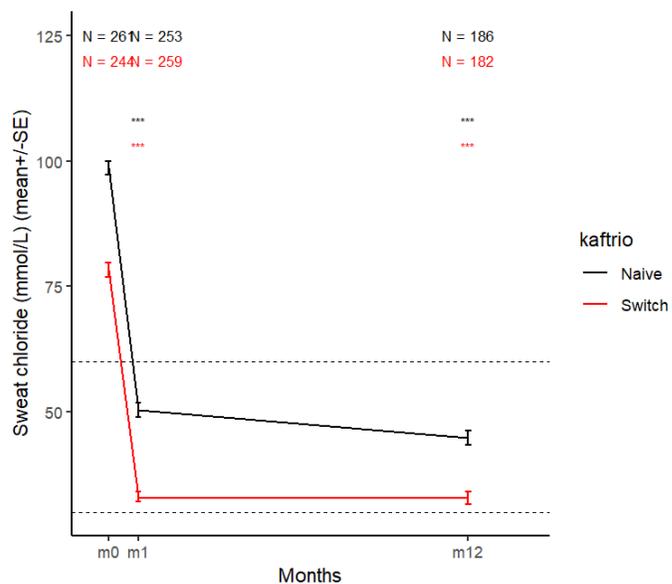
- Pas d'amélioration significative de la taille (Z-score)



RESULTATS

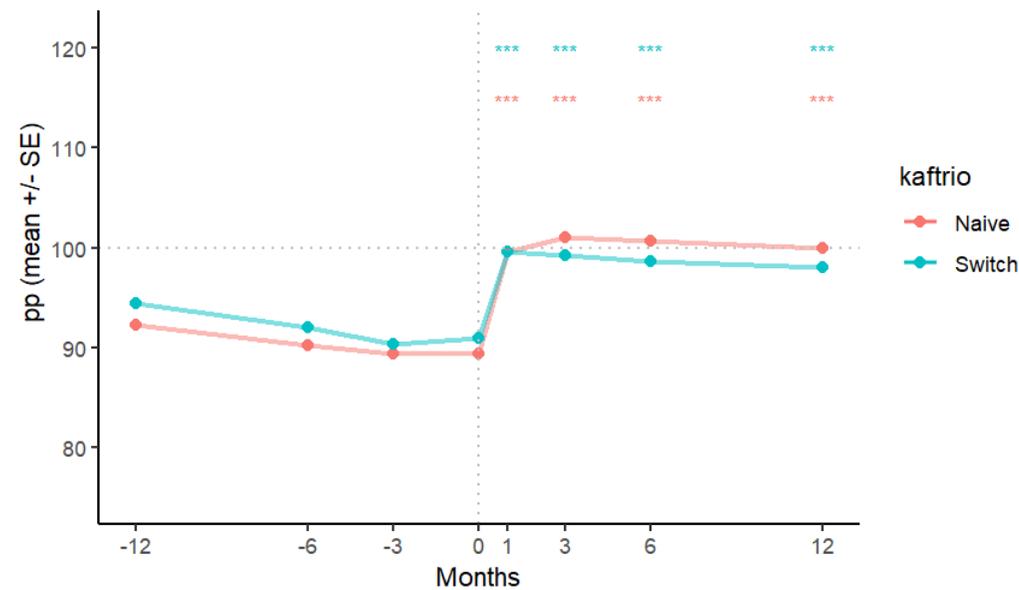
TEST DE LA SUEUR

- Amélioration significative de 88,1 (24,4) mmol/L au départ à 41,8 (22) à 1 mois à 38,3 (19,7) à 12 mois ($p < 0,0001$).



EFR

- Amélioration significative du VEMS de 89,7 % au départ à 101 % à 12 mois ($p < 0,0001$).





CONCLUSION

L'ETI améliore l'atteinte pulmonaire des enfants d'âge scolaire atteints de mucoviscidose

Nous avons observé une amélioration significative pour :

- Poids (Z-score)
- Volume expiratoire forcé en 1 seconde (VEMS)
- Chlorure sudoral

Études de données en cours :

- Index de clairance pulmonaire (LCI)
- Marqueurs inflammatoires dans les expectorations
- Imagerie thoracique