L'ère de la trithérapie Kaftrio® : des inégalités se creusent au sein de la communauté de patie
nts
a
tteints de
m
ucoviscidose

Paris, le 21 septembre 2023. L’association Vaincre la Mucoviscidose publie, aujourd’hui, le bilan 202
2
du
Registre français de la mucoviscidose
. Ce
recueil de
s
données
épidémiologiques, mis à jour chaque année, permet
d’évaluer l’état de santé et
la prise en charge
des p
ersonnes
atteint
e
s de mucoviscidose.
L
es résultats de l’
année 2022 confirme
nt
une nette amélioration de l’état de santé
au global
de
l’ensemble de la population atteinte de mucoviscidose
:
augmentation de la population et de l’âge moyen,
réduction significative

du recours à la greffe, allègement des traitements
…
Néanmoins, ce bilan
révèle
aussi
un
accroissement des disparités
et des pertes de chances considérables
au sein de
la communauté
de patients
entre ceux qui sont accès à la trithérapie et ceux qui ne l'ont pas
.
¾ des patients
atteints de mucoviscidose
décédés
, en 2022,
avaient été transplantés
.

Prévalence de la mucoviscidose en 2022 : davantage de nouveau-nés et une augmentation de la population a
dulte

L'évolution positive des indicateurs-clés étudiés dans le Registre français de la mucoviscidose se poursuit :

- une augmentation du nombre de personnes vivant avec la mucoviscidose (+3 %) pour atteindre 7 743
patients recensés
avec une hausse
de nouveaux cas diagnostiqués
:
188
en 202
2
contre 1
44
en 202
1

;

- un accroissement de la part du nombre d'adultes (plus de 18 ans) dans l'ensemble de la population vivant avec la mucoviscidose : 62,5 % en 2022 contre 61,7 % en 2021 ou encore 48,5 % il y a 10 ans.

- une hausse de l'âge moyen des patients : 25,2 ans contre 19 ans il y a 10 ans ;

- pour la première année, l'âge médian au décès dépasse les 40 ans (40,8 ans), soit un gain de plus de 10 ans sur une décennie. Toutefois, le nombre de décès a légèrement augmenté (56 décès contre 46 en 2021).

A noter, également, une augmentation qui se poursuit du nombre de débuts de grossesse (108 en 2022 contre 100 en 2021) pour les femmes atteintes de mucoviscidose.

Kaftrio® : plus de la moitié des patients en ont bénéficié

En 2022, 50,7 % des patients atteints de mucoviscidose ont bénéficié de la trithérapie protéique Kaftrio® [1] .

Le bilan du Registre de la mucoviscidose traduit les effets bénéfiques d'une meilleure prise en charge globale de la mucoviscidose, en grande partie liée à l
a trithérapie
:

- une diminution drastique du nombre de patients ayant eu recours à une greffe pulmonaire : 2
3 en 2022
(contre
31
en 20
21
contre
plus d'une centaine avant l'arrivée de
Kaftrio
®
)
;

- une amélioration manifeste de la santé respiratoire : augmentation de 2,2 points du VEMS [2] moyen en 2022 (84,5% contre 82,3% en 2021)
. Ces résultats
sont le reflet d'
une
prise en charge globale et pluridisciplinaire
de qualité
au sein des CRCM et
de
l'administration de la trithérapie
pour un grand nombre.

- un moindre recours aux thérapeutiques à visée respiratoire telles que l'aérosolthérapie (- 2 points), l'oxygénothérapie (-0,9 point) ou les corticoïdes oraux
(-0,5
point
)
.
Le
pourcentage du nombre de patients ayant eu au moins une cure
antibiotique intraveineuse
connait une baisse de 6 points (de 18,84% à 12,57%

).

Des défis persistants en matière de santé digestive, hépatique et mentale

Sur les plans digestifs et hépatiques, des complications affectent davantage de patients qu'en 2021. Il convient dans les mois à venir de poursuivre les efforts pour améliorer la prise en charge des patients sur ces enjeux de santé.

Un autre aspect préoccupant réside dans l'évolution de la santé mentale des personnes atteintes de mucoviscidose, avec une légère augmentation des cas de dépression : 9,5 % des patients sont suivis pour dépression (contre 8,8% en 2021).
Il reste encore à déterminer si ces tendances sont associées à des effets secondaires du nouveau modulateur de CFTR
,
Kaftrio
®
,
ou à des réactions paradoxales chez certains patients, qui se trouvent parfois démunis dans la construction de leur avenir.

L'inquiétude majeure : les patients ayant subi une transplantation pulmonaire

Un constat préoccupant ressort du bilan du Registre français de la mucoviscidose 2022 : l'état de santé des patients greffés ne montre que peu d'amélioration voire se détériore, avec potentiellement la survenue de comorbidités, comme le diabète présent chez 69 % des personnes ayant subi une transplantation contre 15,9 % chez les patients non greffés

, l'ostéopénie/ostéoporose (55,3%
vs
12,3 %) et les cancers (8 %
vs
0,5%
).

Près des ¾ des patients atteints de mucoviscidose décédés, en 2022, avaient été transplantés.

Autant de signes qui démontrent l'importance de mettre l'accent sur le suivi des patients greffés, notamment pour une meilleure maîtrise de la dysfonction chronique du greffon pulmonaire.

Le Registre français de la mucoviscidose, qu'est-ce c'est ?

Le Registre français de la mucoviscidose, géré par Vaincre la Mucoviscidose,

Véritable outil épidémiologique, ce recueil permet d'analyser l'état de santé et le suivi médical des pers

Il sert également de base à de nombreuses études de recherche, clinique, épidémiologique ou en santé publique

Retrouvez le Registre français de la mucoviscidose ainsi que le focus sur le site vaincrelamuco.org

À propos de Vaincre la Mucoviscidose :

Créée en 1965 par des parents de jeunes patients et des soignants, Vaincre la Mucoviscidose se consacre à l'accompagnement des personnes malades et de leur famille dans chaque aspect de leur vie bouleversée par la maladie. L'association organise son action autour de quatre missions prioritaires : guérir, soigner, améliorer la qualité de vie, et informer et sensibiliser. Vaincre la Mucoviscidose est une association reconnue d'utilité publique, agréée par le Comité de la charte du don en confiance et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie.

En savoir plus : vaincrelamuco.org

[1] Le pourcentage de patients bénéficiant de la trithérapie devrait évoluer favorablement du fait de l'extension pour les 6/11 ans intervenue fin décembre 2022 et dont les effets ne pourront se mesurer pleinement qu'en 2023. L'extension aux enfants dès l'âge de 2 ans dans le cadre d'un accès précoce devrait également contribuer à augmenter ce pourcentage tout comme l'élargissement du cadre de prescription compassionnelle intervenu en juin 2023.

[2] VEMS : volume expiratoire maximal par seconde dont le référentiel visé est de 100%.