

47th EUROPEAN CYSTIC FIBROSIS CONFERENCE

5 – 8 JUNE 2024 | GLASGOW, UNITED KINGDOM

S12 - Exploration de nouveaux paradigmes nutritionnels dans les soins de la mucoviscidose: Perspectives à partir des lignes directrices mises à jour

Mise à jour de l'évaluation et du suivi nutritionnel

Daina KALNINS, Toronto, Canada



Objectifs

Décrire les lignes directrices en matière d'évaluation et de surveillance nutritionnelles :

- Fréquence de surveillance
- Définir les seuils nutritionnels
- Mesure de la composition corporelle à évaluer
- Lutter contre la dénutrition



Evaluation nutritionnelle

Recommandation 1

L'évaluation et le suivi standard de l'état nutritionnel des personnes atteintes de mucoviscidose doivent être effectués avec précision, régulièrement et doivent inclure au minimum les paramètres suivants qui doivent être interprétés ensemble et longitudinalement :

- Nourrissons : Z scores pour le poids pour l'âge, la taille pour l'âge et l'IMC ainsi que le périmètre crânien toutes les unes à deux semaines jusqu'à ce que des preuves d'une nutrition adéquate et d'un état nutritionnel idéal soient établis, puis mensuellement pendant la première année de vie.
- Enfants > 1 et 2 ans : Z scores pour le poids pour l'âge, la taille pour l'âge et l'IMC ainsi que le périmètre crânien pour l'âge tous les deux à trois mois.
- Enfants > 2 ans : Z scores pour le poids pour l'âge, la taille par rapport à l'âge et l'IMC par rapport à l'âge au moins tous les trois mois.
- Adultes : IMC au moins une fois tous les trois à six mois



Evaluation nutritionnelle

Recommandations 2 et 3

- L'intégration d'une correction de la taille cible en fonction de la taille des parents peut être envisagée lors de l'évaluation des Z scores taille pour âge chez les enfants atteints de mucoviscidose.
- Lors de l'évaluation de la croissance et de l'état nutritionnel des enfants atteints de mucoviscidose ou de la comparaison entre centres ou pays, une interprétation prudente doit être envisagée lors de l'utilisation de différentes références.



Evaluation nutritionnelle

Recommandations 4 et 5

- Une évaluation longitudinale de la composition corporelle pour obtenir des estimations de la masse grasse (MG) et de la masse maigre (MGF), plutôt que de se fier uniquement à l'IMC, devrait être réalisée chez les personnes atteintes de mucoviscidose car leur association avec les résultats (respiratoires) est plus forte que pour l'IMC seule et parce qu'un IMC faible ou normal peut masquer une MG élevée ou une MG faible. Le choix de la méthode de composition corporelle doit être guidé par la disponibilité, les ressources, les facteurs techniques et les facteurs cliniques tels que l'âge et l'état d'hydratation.
- Les données de composition corporelle obtenues par Densitométrie de routine pour l'évaluation de la santé osseuse peuvent être utilisées pour surveiller l'état nutritionnel.



Evaluation nutritionnelle

Recommandations 6 et 7

- L'impédance bioélectrique (BIA), qui est une technique non invasive, simple et au chevet du patient, peut être envisagée pour évaluer la composition corporelle chez les patients atteints de mucoviscidose.
- Des mesures en série de la force de préhension de la main peuvent être envisagées chez les adultes et les enfants de 2 à 6 ans atteints de mucoviscidose, car elles peuvent aider à détecter les changements précoces de la fonction musculaire et peuvent donc servir d'indicateur de l'état.



Evaluation nutritionnelle

Recommandations 8 et 9

- L'anthropométrie du bras, y compris la circonférence du milieu du bras et les mesures des plis cutanés, peut être envisagée comme méthode d'évaluation de la composition corporelle, en particulier dans le cas où la DXA ou la BIA ne sont pas disponibles.
- Un examen diététique régulier, y compris l'évaluation de l'adhésion aux conseils diététiques, peuvent être effectués tous les trois à six mois chez les enfants atteints de mucoviscidose et tous les six à douze mois chez les adultes atteints de mucoviscidose.



Malnutrition, dénutrition et surpoids

Recommandations 10 et 11

- Les futures études décrivant l'insuffisance pondérale devraient utiliser des seuils standards pour augmenter la comparabilité entre les études : pour les adultes, IMC < -2 écart-type ou IMC < -2 écart-type (% 2e percentile) de la valeur de référence médiane pour l'âge et le sexe. Retard de croissance : taille pour l'âge < -2 écart-type de la valeur de référence moyenne pour l'âge et le sexe.
- Les futures études décrivant le surpoids et l'obésité chez les personnes atteintes de mucoviscidose devraient utiliser des seuils standards pour augmenter la comparabilité entre les études, pour les adultes IMC 25-29.9 kg/m² pour le surpoids, IMC 30 kg/m² pour l'obésité, pour les enfants de deux ans et plus, IMC entre 85e et 94,9e percentile OU IMC 1 écart-type (-84e percentile) au-dessus de la médiane de référence de croissance de l'OMS pour le sexe et l'âge, pour le surpoids IMC 29.5e percentile obésité OU Z score de l'IMC > 2 écarts type (98e percentile) au-dessus de la médiane de référence de croissance l'âge pour l'obésité.



Malnutrition, dénutrition et surpoids

Recommandations 12 et 13

- Les objectifs pour un état nutritionnel optimal chez les personnes atteintes de mucoviscidose restent plus élevés que dans la population générale. Les personnes atteintes de mucoviscidose dont le poids ou la croissance stagne, exprimé sous forme de tendance à la baisse en percentiles ou en Z scores, doivent faire l'objet d'une évaluation nutritionnelle plus approfondie.
- L'obésité doit être évitée car des problèmes associés tels que l'hypertension, l'hypercholestérolémie et le diabète surviennent chez les personnes atteintes de mucoviscidose et l'obésité.

Les défis de la nutrition infantile dans la mucoviscidose

Guidelines européennes

Anne MUNCK, Paris, France



Préambule

Comité créé en 2021 :

- 10 médecins
- 5 diététiciens
- 1 représentant des patients
- 1 coordinateur



Guidelines élaborées conformément aux guidelines de l'ESPEN (European Society for Clinical Nutrition and Metabolism)



Evaluation et suivi nutritionnel

Recommandation 1

- L'évaluation et le suivi standard de l'état nutritionnel des personnes atteintes de mucoviscidose doivent être effectués régulièrement et avec précision et doivent inclure au minimum les paramètres suivants qui doivent être interprétés ensemble et longitudinalement :
 - Nourrissons : Z scores pour le poids pour l'âge, la taille pour l'âge et le poids pour la taille (PPT) ainsi que la circonférence crânienne pour l'âge pendant une à deux semaines jusqu'à ce que des preuves de nutrition adéquate et d'état nutritionnel idéal soient établies, puis mensuellement pendant la première année de vie.
 - Chez les nourrissons diagnostiqués par NBS, l'attention portée à la nutrition vise à maintenir une croissance normale avant même l'apparition de signes de phénotype CF.
 - Enfants de 1 à 2 ans : Z scores pour le poids pour l'âge, la taille pour l'âge et la PPF ainsi que le périmètre crânien pour l'âge tous les deux à trois mois. Les patients ayant un mauvais état nutritionnel et/ou une mauvaise croissance doivent faire l'objet d'une surveillance plus fréquente que les patients ayant un état nutritionnel adéquat.
 - Depuis les directives précédentes, il existe de plus en plus de preuves que la position corporelle est un élément fondamental de la NS complète, mais il n'existe aucune donnée à cet âge.



Dénutrition

Recommandation 13

- Les objectifs pour un état nutritionnel optimal chez les personnes atteintes de mucoviscidose restent plus élevés que dans la population générale, par exemple selon la définition du CDC/OMS. Les personnes atteintes de mucoviscidose dont le poids ou la croissance stagnent, exprimés sous forme de tendance à la baisse en percentiles ou en z-scores, doivent subir une évaluation nutritionnelle plus poussée.
- Nutrition adéquate chez les nourrissons atteints de mucoviscidose = croissance similaire à celle d'une population en bonne santé du même âge
- La fréquence de la dénutrition chez les personnes atteintes de mucoviscidose pourrait être influencée négativement par l'absence de dépistage néonatal, l'indisponibilité de certains traitements (traitement par DNase, enzymes pancréatiques), l'insuffisance pancréatique exocrine (IP), l'insécurité alimentaire, la colonisation par *Pseudomonas aeruginosa* et l'âge au moment du diagnostic.
- La reprise précoce de la croissance dans la mucoviscidose est essentielle, car la dénutrition pendant la petite enfance a tendance à persister et il est difficile de rattraper la croissance après l'âge de deux ans. Plus la croissance adéquate est maintenue longtemps après la reprise précoce de la croissance, meilleurs seront les résultats pulmonaires à l'âge de six à sept ans et à douze ans.
- L'objectif est une PPF > 50e percentile à 2 ans



Traitement de substitution par enzymes pancréatiques

Recommandations 15 et 17

- Les enzymes pancréatiques doivent être administrées à tous les patients présentant des signes d'insuffisance pancréatique exocrine. La prise d'enzymes pancréatiques entraîne une amélioration des résultats anthropométriques et des complications gastro-intestinales liées à la mal digestion.
- L'évaluation de la dose d'enzymes pancréatiques peut être effectuée sur une base individuelle et en utilisant le dénominateur le plus approprié pour prescrire des enzymes pancréatiques.

Age	Suggested supplementation
Infants (up to 12 months)	2000–4000 U lipase/120 mL formula or estimated breast milk intake and approximately 2000 U lipase/gram dietary fat in food
Children 1–4 years	2000–4000 U lipase/gram dietary fat, increasing dose upward as needed (maximum dose 10,000 U lipase/kg/d)



Vitamines liposolubles

Recommandations 19 à 26

- L'évaluation biochimique des vitamines et des oligo-éléments doit être interprétée avec prudence lors d'une exacerbation de la mucoviscidose.
- Pour les personnes atteintes de mucoviscidose et les patients exocrines atteints de P1 : les taux de vitamines liposolubles peuvent être évalués après le début de la supplémentation enzymatique et vitaminique trois à six mois après le début ou le changement de la thérapie vitaminique ; et annuellement par la suite.
- Pour les vitamines D&CE et exocrines, les vitamines liposolubles peuvent être évaluées annuellement en utilisant les taux plasmatiques.
- Les suppléments vitaminiques chez les patients atteints de mucoviscidose avec IP exocrine doivent être pris avec des aliments riches en graisses et des suppléments d'enzymes pancréatiques pour améliorer l'absorption.
- Lorsqu'une carence biochimique est détectée malgré une supplémentation vitaminique adéquate, une mauvaise observance ou une mauvaise absorption des suppléments doit être exclue avant d'ajuster la posologie.
- Les patients doivent prendre de la vitamine D sous forme de cholécalférol (D3).

Vitamines liposolubles



➤ Vitamin D ₃ starting dose Infants: 400IU/d (1000IU/d) then 800IU/d (2000IU/d)
➤ Vitamin E α tocopherol Infants <12m: 50IU/d then 100-400IU/d
➤ Vitamin K ₁ Infants 0,3-1mg/d then 1-10mg/d
➤ Vitamin A Retinol preformed: start low, adapt βCarotene provitamin A: 1mg/kg/d 12 W and maintenance (max 10mg/d)

- Les nourrissons recevant un traitement modulateur doivent faire vérifier leurs niveaux 3 mois après le début du traitement, ils peuvent avoir besoin d'une réduction de la dose.



Nutrition et fonction pulmonaire

Recommandation 32

- Chez les patients atteints de mucoviscidose, un IMC normal et une composition corporelle normale (c'est-à-dire une masse grasse et une masse maigre dans la plage normale pour l'âge et le sexe) doivent être atteints et maintenus, afin d'améliorer la fonction pulmonaire et de prolonger la survie.



Alimentation des nourrissons, des jeunes enfants et des enfants

Recommandations 34 à 38

- Quel que soit l'état pancréatique, les nourrissons atteints de mucoviscidose doivent être exclusivement nourris au sein jusqu'à l'introduction appropriée d'aliments complémentaires, puis seuls en plus des aliments complémentaires jusqu'à deux ans.
- La promotion de l'allaitement peut inclure un soutien à la lactation dès que possible en milieu hospitalier ou communautaire.
- Les professionnels spécialisés dans les soins de la mucoviscidose sont un soutien indispensable pour les soins et l'alimentation des nourrissons au cours des premières années de vie afin de réduire ce risque.



Alimentation des nourrissons, des jeunes enfants et des enfants

Recommandations 34 à 38

- Les aliments complémentaires doivent être introduits au même âge que ceux recommandés pour la population générale.
- Chez les nourrissons diagnostiqués avec la mucoviscidose, nous recommandons de fournir un enrichissement du lait maternel ou un complément de lait maternisé approprié si nécessaire pendant la première année de vie dans le but de retrouver le poids de naissance Z score et d'atteindre une croissance normale pour l'âge.
- De bons comportements alimentaires, des relations alimentaires positives et des conseils nutritionnels pour les familles doivent faire partie d'une équipe de soins multidisciplinaires.
- Une alimentation saine, équilibrée et de qualité devient une pratique courante.



Alimentation des nourrissons, des jeunes enfants et des enfants

Recommandations 34 à 38

- L'apport énergétique ne doit être augmenté que si nécessaire pendant la première année de vie en fournissant un enrichissement de la BM ou une supplémentation en FM dans le but de retrouver le Z score du poids de naissance et une croissance / âge normal.
- Il est essentiel d'atteindre un score nutritionnel optimal dans la petite enfance +++++
- Encourager des comportements alimentaires sains dès le début de la vie favorise une relation saine avec la nourriture.



Alimentation des nourrissons atteints d'iléus méconial

Recommandation 39, 40

- Les patients qui présentent un iléus méconial doivent être considérés comme présentant un risque nutritionnel élevé en ce qui concerne les résultats à court et à long terme. Ils doivent être pris en charge par une équipe multidisciplinaire de FC plus large comprenant des spécialistes en chirurgie pédiatrique, néonatalogie, gastro-entérologie et diététique.
- Les nourrissons atteints d'iléus méconial nécessitant une intervention chirurgicale (environ 70 %) doivent initialement être soutenus par une nutrition parentérale pour soutenir leur croissance. Le choix de la formulation de la NP totale peut favoriser un profil anti-inflammatoire lipidique comprenant des triglycérides à chaîne moyenne (TCM) et de l'huile de poisson pour minimiser la cholestase.



Complémentation en oligoéléments

Calcium

- Les apports quotidiens en calcium doivent atteindre les recommandations de l'Autorité européenne de sécurité des aliments pour les enfants et les adultes en bonne santé du même âge.

Zinc

- Une supplémentation en zinc pour les personnes qui présentent une carence avérée en zinc ou qui présentent un risque d'insuffisance en zinc (croissance sous-optimale des jambes, apport alimentaire faible évalué, sensibilité accrue aux infections, retard de la maturation sexuelle et acrodermatite) peut être envisagée. Une supplémentation systématique en zinc pour les personnes atteintes de mucoviscidose peut ne pas conférer de bénéfice clinique.

Sélénium

- Les données / preuves sont insuffisantes pour conclure à un quelconque bénéfice d'un apport supplémentaire en sélénium sur les résultats nutritionnels ou respiratoires.

Sodium

- Chez les nourrissons, les enfants et les adultes atteints de mucoviscidose, des niveaux spécifiques de supplémentation en sel peuvent être nécessaires en fonction de l'âge et de l'état clinique, de l'activité physique et de la situation climatique.

Age	Sodium supplementation ^a	Detail
Breastfed infants 0–6 months	1–2 mmol per kg/d	For infants at risk of sodium deficiency give salt in small portions throughout the day, diluted in water or fruit juice
For infants with special considerations (see detail, right)	Up to 4 mmol per kg/d	Increase intake for infants living in hot ambient temperatures; or for those with increased fluid loss due to vomiting, fever, diarrhea, or tachypnea; or infants with ostomies.

47th European CF Conference 4-6 June 2024 Glasgow Symposium 12



Sodium

- En raison d'un dysfonctionnement du CFTR, les patients atteints de CF ont des concentrations de sodium et de chlorure 2 à 4 fois plus élevées dans leur sueur.
- Les risques de pertes de sodium augmentent avec un environnement chaud, des infections respiratoires, de l'exercice, de la fièvre, des vomissements, de la diarrhée.
- Chez les nourrissons, le statut sodique est en outre influencé par une croissance rapide et une teneur relativement faible en sodium de la matière grasse, des préparations pour nourrissons et de nombreux aliments de sevrage.
- Les conséquences cliniques d'une carence en sodium, en particulier chez les nourrissons, comprennent un ralentissement de la croissance.
- Augmentez l'apport pour les nourrissons vivant dans des températures ambiantes chaudes ; ou pour les personnes présentant une perte de liquide accrue en raison de vomissements, de fièvre, de diarrhée ou de tachypnée ; ou les nourrissons porteurs de stomies.



Conclusion

- Chez les nourrissons diagnostiqués par le dépistage néonatal, l'accent est mis sur la nutrition pour maintenir une croissance normale avant même l'apparition de signes de phénotype de la mucoviscidose.
- La surveillance dans les centres spécialisés dans la mucoviscidose suit les normes de soins avec une approche nutritionnelle préventive et une intervention appropriée en temps opportun pour réduire le risque de malnutrition. Les diététiciens spécialisés dans les soins de la mucoviscidose sont un soutien précieux pour les soins et l'alimentation des nourrissons.
- Une surveillance étroite est associée à de meilleurs résultats de croissance. Une croissance optimale précoce a un impact sur les résultats à long terme.
- Une alimentation saine, équilibrée et de haute qualité devient une pratique standard.
- L'apport alimentaire au cours de la petite enfance prédit les habitudes alimentaires à long terme.

La nutrition à l'ère du traitement par modulateur CFTR

Chris SMITH, Brighton, Royaume-Uni



La nutrition à l'ère des modulateurs

Beaucoup de choses ont changé avec les modulateurs :

- Impacts directs et indirects sur la nutrition

Quels sont les nouveaux défis ?

- Fondamentalement et spécifiquement

Qu'est ce qu'on fait maintenant ?

- Les priorités

Impacts indirects sur la nutrition

- Fonction respiratoire avec moins d'exacerbation
- Moindre déclin de la fonction respiratoire
- Comorbidités réduites
- Espérance de vie améliorée



Impacts directs sur la nutrition

- Gain de poids amélioré
- Réduction carences en vitamines
- Symptômes gastro-intestinaux améliorés
- Fonction pancréatique : amélioration de la fonction chez les 2-5 ans ayant au moins une deltaF508?





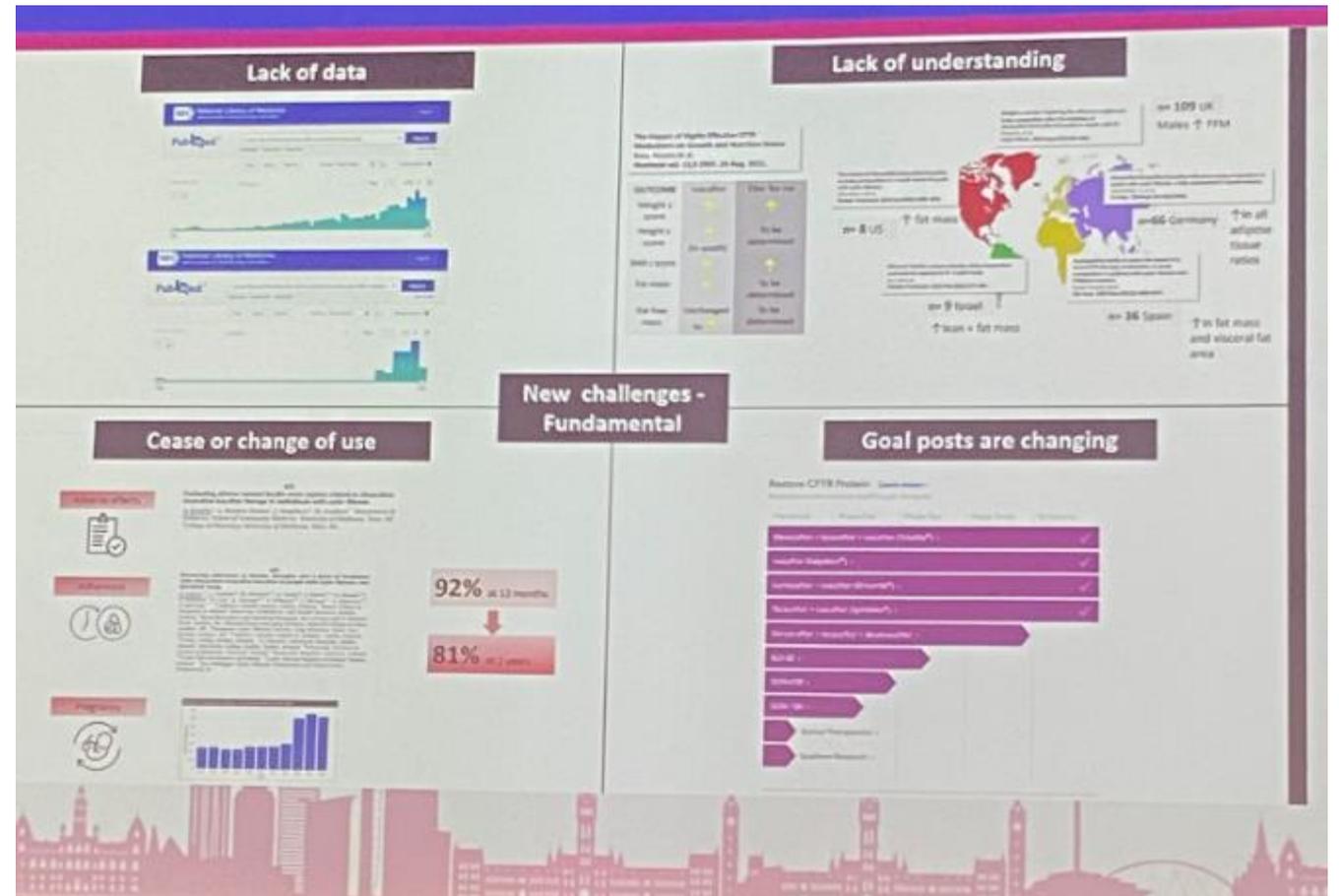
Recommandations

- Des conseils diététiques appropriés doivent être fournis aux patients atteints de mucoviscidose débutant un traitement par modulateur CFTR, cela doit inclure des conseils sur la limitation et la gestion de la prise de poids.
- L'état nutritionnel et l'apport alimentaire des personnes atteintes de mucoviscidose sous traitement par modulateur CFTR, y compris l'apport en sel et le statut en vitamines liposolubles, doivent continuer à être régulièrement revus et des modifications doivent être recommandées en fonction des changements observés.
- Les symptômes gastro-intestinaux doivent être étroitement surveillés après le début du traitement par modulateur CFTR et cela doit se poursuivre dans le cadre des soins de routine de la mucoviscidose.

Quels sont les nouveaux défis?

Fondamentalement

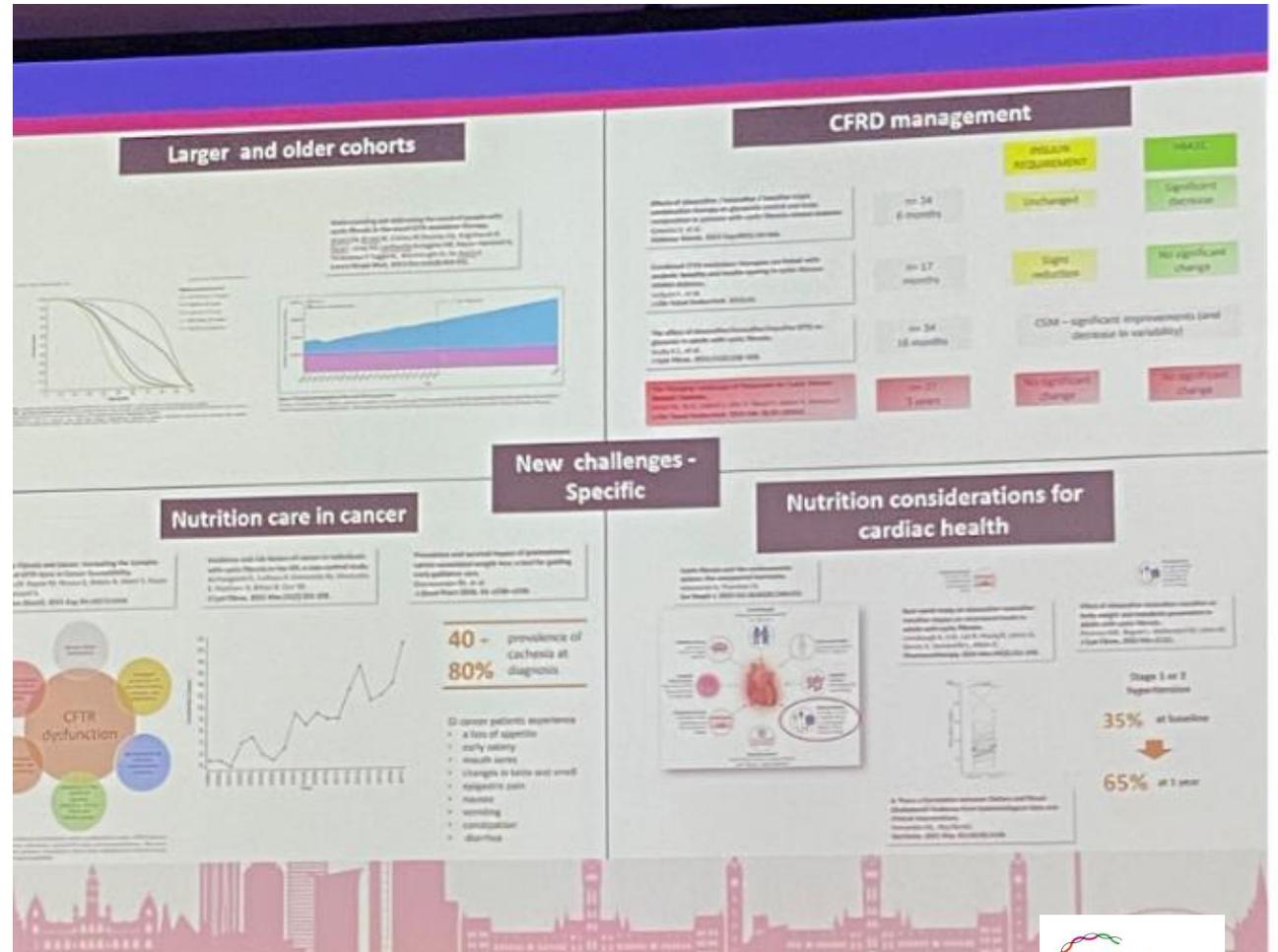
- Manque de donnée
- Manque de compréhension
- Evolution des comportements
- Changement d'objectifs



Quels sont les nouveaux défis?

Spécifiquement

- Des cohortes plus grandes et plus âgées
- Gestion de l'insuline
- Cancer
- Maladies cardio-vasculaires



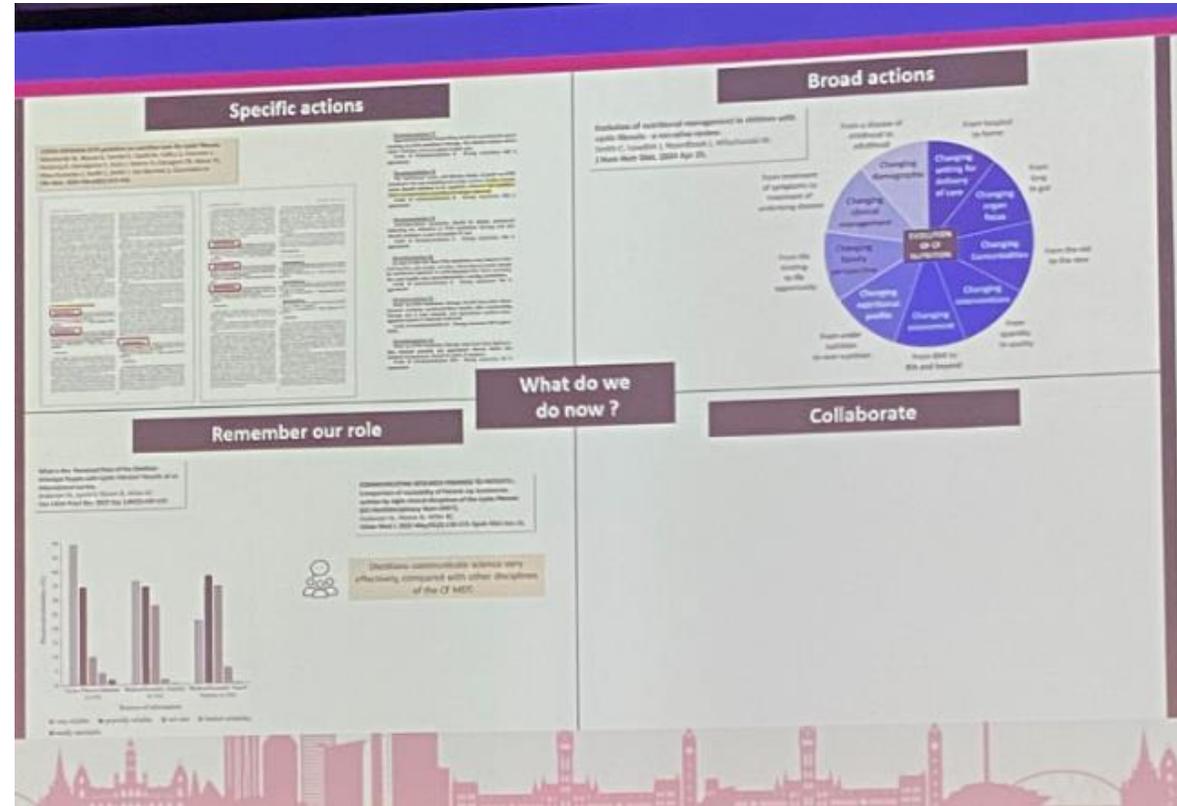


Recommandations

- Étant donné que les modulateurs CFTR peuvent améliorer la fonction des cellules bêta et la sécrétion d'insuline, les niveaux de glucose sanguin doivent être surveillés régulièrement pour éviter l'hypoglycémie en supposant la même dose d'insuline prescrite avant de commencer les modulateurs.
- Les patients atteints de mucoviscidose sous traitement par modulateur CFTR doivent faire l'objet d'une surveillance régulière de leur tension artérielle trois mois après le début du traitement et au moins une fois par an, et une prise en charge médicale appropriée doit être mise en place si cela est cliniquement indiqué.
- Les patients atteints de mucoviscidose sous traitement par modulateur CFTR doivent faire vérifier leur profil lipidique chaque année. Des conseils diététiques et une prise en charge médicale appropriés doivent être prodigués si nécessaire.

Qu'est ce qu'on fait maintenant?

- Actions spécifiques = recommandations
- Actions générales = s'adapter à tous les changements
- Le rôle du professionnel en diététique et sa valorisation
- Le travail de recherche continue



Nouvelles lignes directrices sur l'insuffisance pancréatique exocrine et l'enzymothérapie pancréatique substitutive dans la mucoviscidose

Isabelle SCHEERS, Bruxelles, Belgique



Insuffisance pancréatique IP

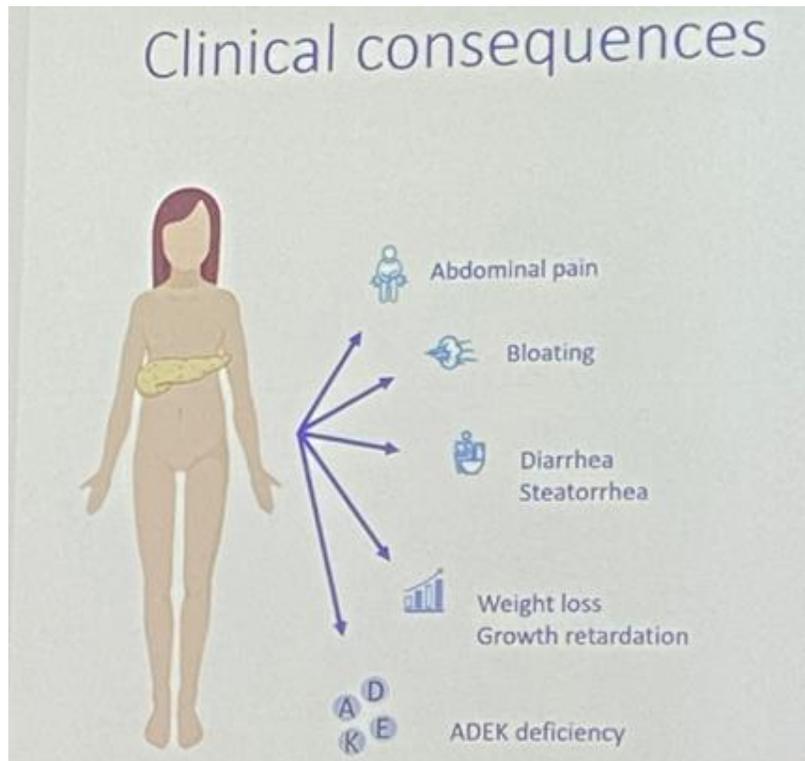
Définition

L'IPE est définie comme une réduction de la sécrétion pancréatique exocrine et/ou de l'activité intraluminale des enzymes pancréatiques en dessous d'un niveau permettant une digestion normale des nutriments.

L'IPE est associée à une malabsorption des nutriments et peut entraîner des symptômes intestinaux et/ou des carences nutritionnelles.

Insuffisance pancréatique IP

Conséquences cliniques



- Douleurs abdominales
 - Ballonnements
 - Diarrhées
 - Stéatorrhées
 - Perte de poids
 - Retard de croissance
 - Carence vitamines ADEC
-
- IP diagnostiquée par la mesure de l'élastase fécale

Traitement de substitution des enzymes pancréatiques (PERT)

Quand et combien ?

- Les enzymes pancréatiques doivent être commencées chez tous les patients présentant des signes d'insuffisance exocrine.
- L'apport d'enzymes pancréatiques entraîne une amélioration des résultats anthropométriques et des complications gastro-intestinales liées à la mal digestion.

Age	Suggested supplementation
Infants (up to 12 months)	2000–4000 U lipase/120 ml. formula or estimated breast milk intake and approximately 2000 U lipase/gram dietary fat in food
Children 1–4 years	2000–4000 U lipase/gram dietary fat, increasing dose upward as needed (maximum dose 10,000 U lipase/kg per day)
Children >4 years and adults	Consider starting at 500 U lipase/kg/meal, titrating upward to a maximal dose of: <ul style="list-style-type: none">• 1000–2500 U lipase/kg per meal, or• 10,000 U lipase/kg per day, or• 2000–4000 U lipase/gram dietary fat taken with all fat-containing meals, snacks and drinks

Abbreviation: U, units.



Considérations spécifiques

- Le pH de l'intestin grêle détermine la libération des enzymes pancréatiques.
- Il n'existe pas de données probantes sur l'utilisation systématique d'inhibiteurs de la pompe à protons (IPP) pour améliorer l'efficacité des enzymes.
- Les enzymes pancréatiques peuvent être administrées par voie orale au début de la nutrition entérale (NE) et pendant la nuit si le patient est éveillé.



Suivi de l'efficacité du PERT

- Symptômes
- Coefficient d'absorption des graisses
- Paramètres anthropométriques
 - A chaque visite (mensuelle) pour les nourrissons
 - Tous les 3 mois chez l'enfant / adolescent
 - Tous les 6 mois pour les adultes
- Etat nutritionnel normal
 - Enfants < 2 ans : taille et poids 2PSO
 - Enfants 2-18 ans : IMC 2PSO
 - Adultes : LMO entre 18,5 et 22 entre 18,5 et 23 et pas de perte de poids

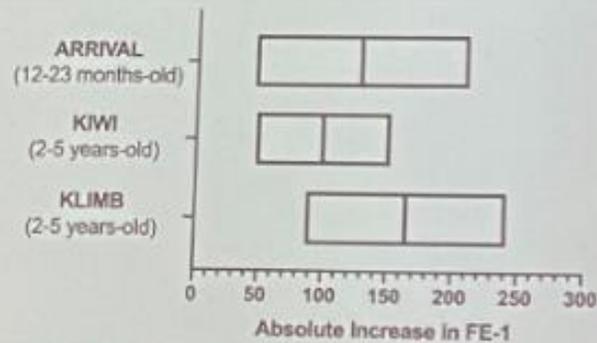
Impact des modulateurs

- Peu de données

Study on Ivacaftor + Lumacaftor in pwCF 2-5years homozygotes $\Delta F508$

	Baseline	Week 24*	Mean absolute change† (SD; 95% CI)	Within-group p value‡
Fecal elastase-1 concentration, $\mu\text{g/g}\ddagger$ (normal range, $>200 \mu\text{g/g}$)	13.1 (20.7); n=48	66.3 (101.2); n=42	52.6 (87.8; 22.5 to 82.7); n=35	0.0012

Studies on Ivacaftor in pwCF ≥ 1 *CFTR* gating mutation



Rosenfeld-LancetRespiMed 2018
Rosenfeld, JCystFibros 2019
Davies, AmJRespirCritCareMed 2021
Mc Namara, LancetRespiMed 2019



Impact des modulateurs

Case reports

Restoration of exocrine pancreatic function in older children with cystic fibrosis on ivacaftor

A.L. Nichols^{a*}, J.C. Davies^{b,a}, D. Jones^a, S.B. Carr^{a,b}

Pancreatitis in A Patient with Cystic Fibrosis Taking Ivacaftor

Argyri Petrocheilou^{1,*}, Athanasios G. Kaditis² and Ioanna Loukou¹

Sustained recovery of exocrine pancreatic function in a teenager with cystic fibrosis treated with ivacaftor

Time for a gut check: Pancreatic sufficiency resulting from CFTR modulator use

Rosemary Megalaa¹ | Vani Gopalareddy² | Elizabeth Champion¹ | Jennifer L. Goralski^{3,4}

Case report

Case Reports > J Cyst Fibros. 2022 Jul;21(4):721-724. doi: 10.1016/j.jcf.2022.04.005.
Epub 2022 Apr 11.

A case report of CFTR modulator administration via carrier mother to treat meconium ileus in a F508del homozygous fetus

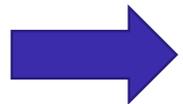
Sylvia Szentpetery¹, Kimberly Foil², Sara Hendrix², Sue Gray², Christina Mingora², Barbara Head², Donna Johnson², Patrick A Flume²



Impact des modulateurs

- Mais :

Study Promise-GI on Elexa+Teza+Ivacaftor (ETI) in pwCF >12years et ≥ 1 $\Delta F508$ mutation



Pas d'amélioration significative de l'élastase fécale

Impact des modulateurs

- Sur la dose de PERT :
 - Les modulateurs améliorent la fonction exocrine
 - Est-ce significatif dans la vie réelle ?
 - Des études plus vastes sont nécessaires pour évaluer l'impact sur les recommandations PERT

