

17èmes Journées Scientifiques de la mucoviscidose

**Correcteurs en pédiatrie
Point sur la cohorte MODULCF**

I Sermet-Gaudelus

Etude MODUL-CF

- Comité d'éthique APHP-Centre/Université Paris Cité
- MR004: réutilisation de données. recherche d'intérêt public
- Conformité RGPD, autorisation d'utilisation pour la recherche, lien avec le registre
- Clinical Trials
- Déclaration CNIL
- Convention avec chaque CRCM

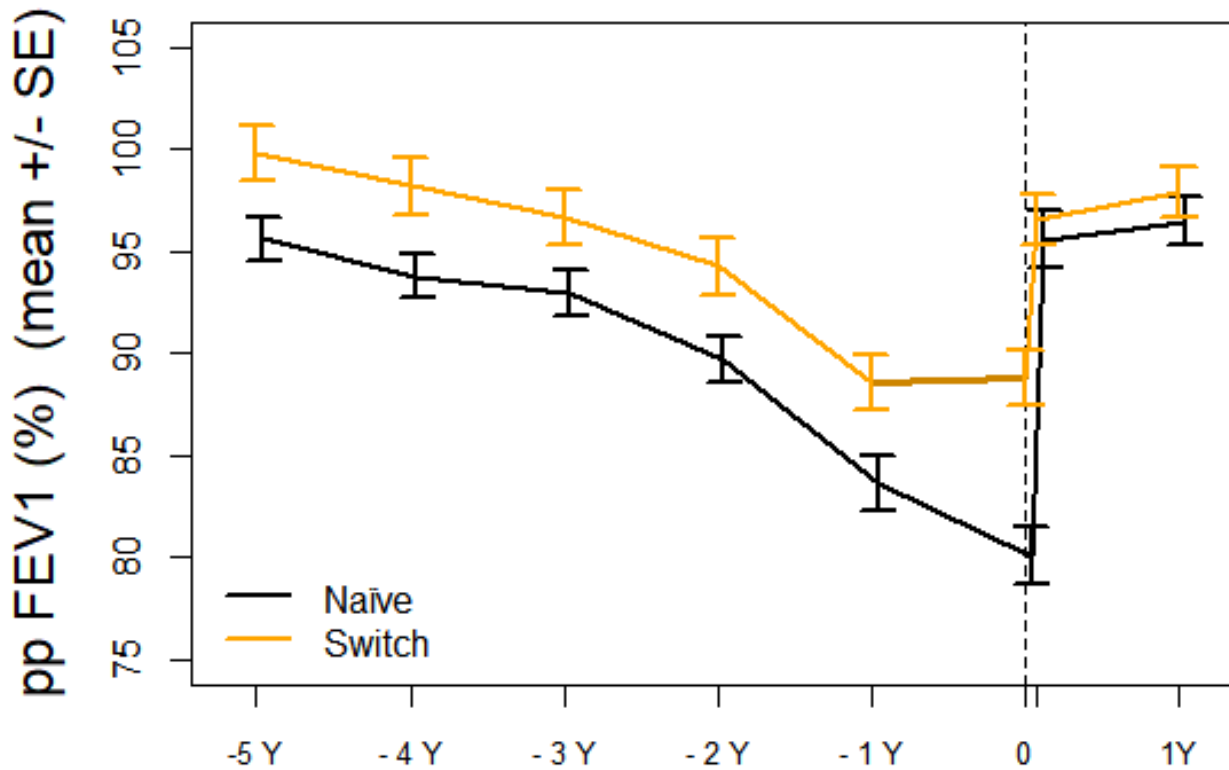
Cohorte Modul-CF

- 1700 patients de 6-18 ans M0-M12
 - 2/3 « naifs » F508del/MF: ~ totalité de la cohorte
 - 1/3 « switch » F508del/F508del passés de Orkambi à Kaftrio en cours de récupération des M12
 - 600 enfants de 2-12 ans dans la cohorte orkambi (M0-M12)
- Enfants de 2 à 5 ans : 450 patients dans le registre
 - 215 « naifs »
 - 235 « switch »
 - Inclusions en cours : 135 enfants collectés (45 « naifs », 69 « switch »)

Diminution des exacerbations dans le temps

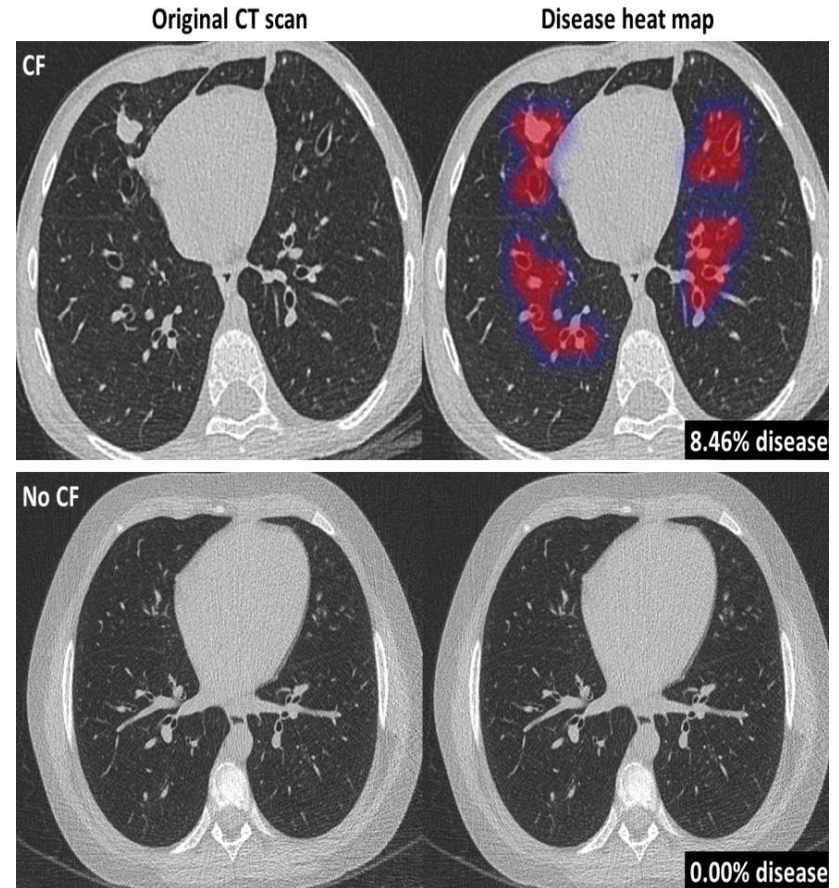
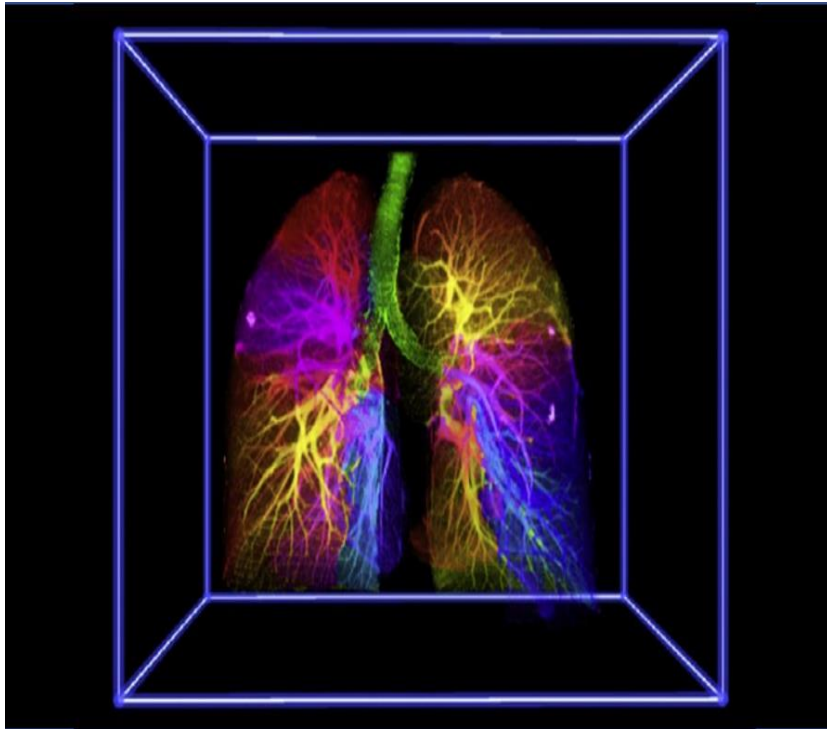


Rattrapage de la fonction respiratoire par rapport aux 5 ans précédents: VEMS



Scanners Pulmonaires

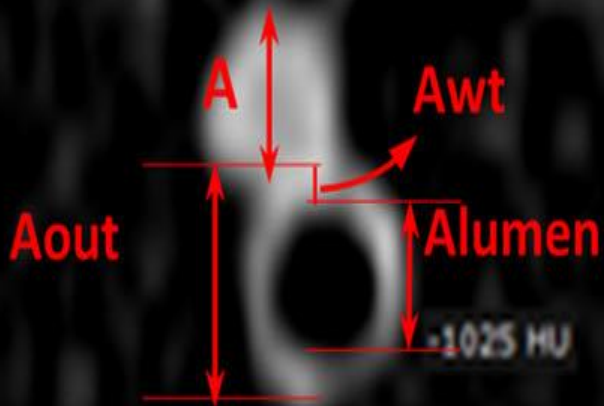
Score de PRAGMA, analyse en IA : bronchiectasie, épaissement des parois



Quantitative analysis of structural abnormalities

- Bronchiectasis
- Airway wall thickening
- Mucus plugs
- Atelectasis
- Gas trapping (expiration)





- A_{out} : outer airway wall diameter
- A_{lumen} : inner airway wall diameter
- A_{wt} : airway wall thickness
- A : paired artery diameter

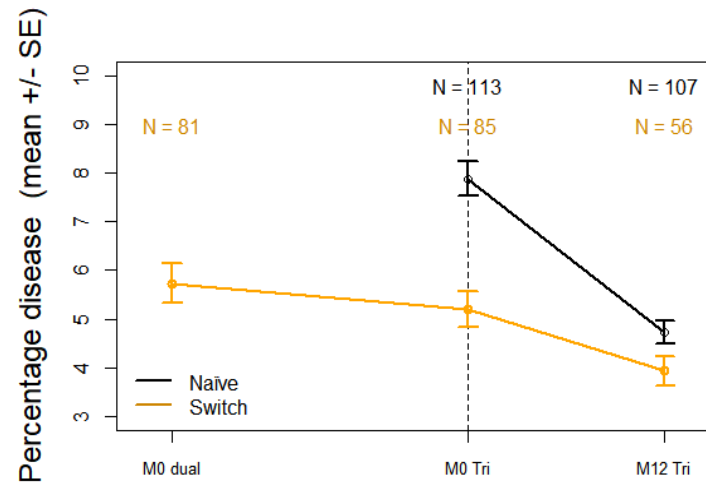
$$A_{out}A_{ratio} = A_{out}/A$$

$$A_{lumen}A_{ratio} = A_{lumen}/A$$

$$A_{wt}A_{ratio} = (A_{out} - A_{lumen})/A$$

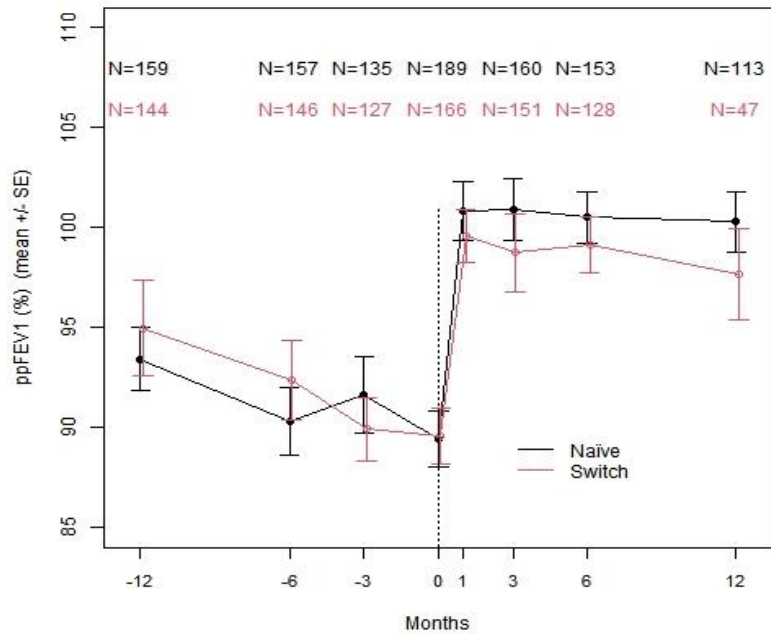
Amélioration ultrastructurale

% zones atteintes

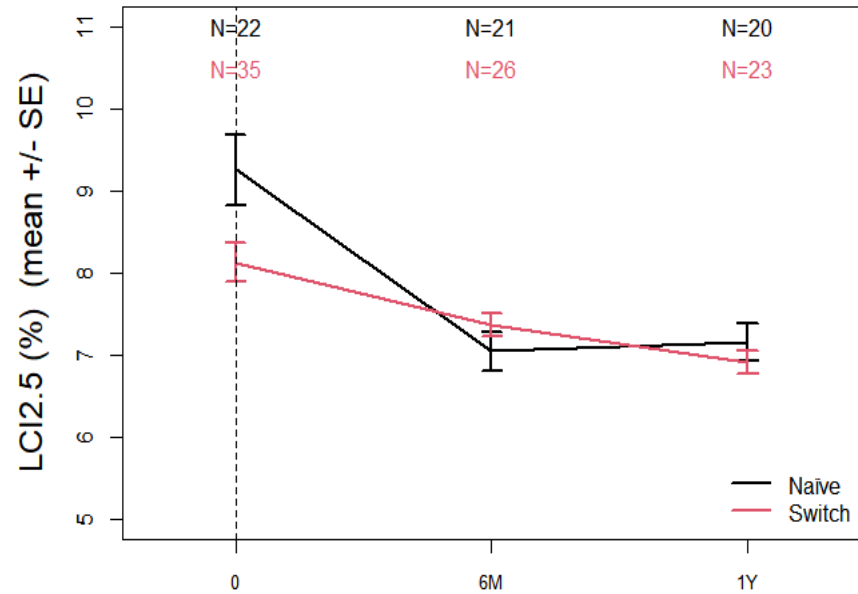


Cohorte des 6-12 ans

VEMS

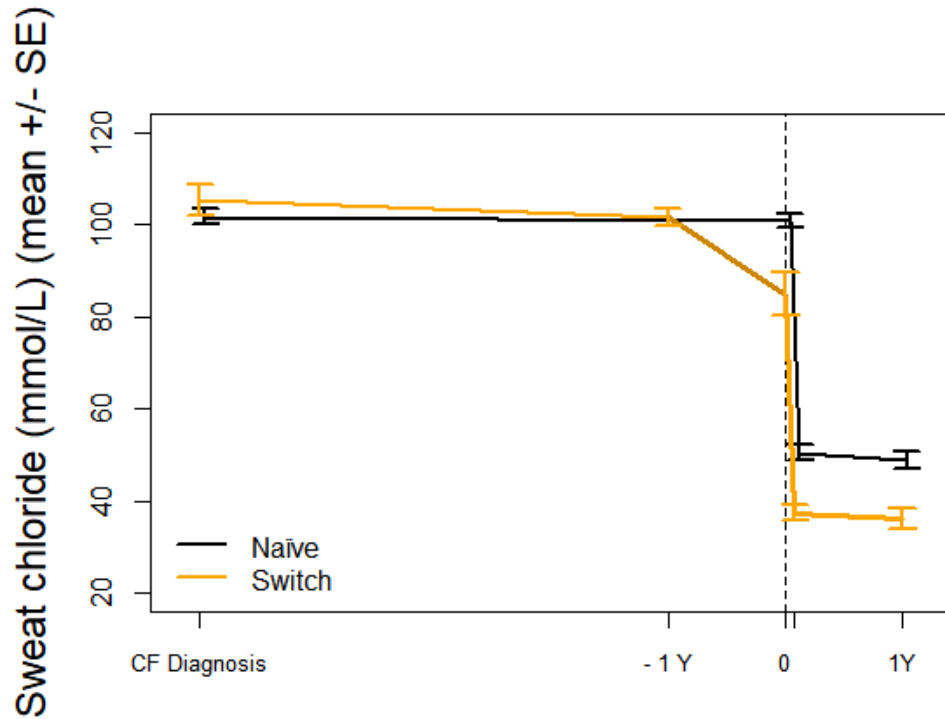


LCI

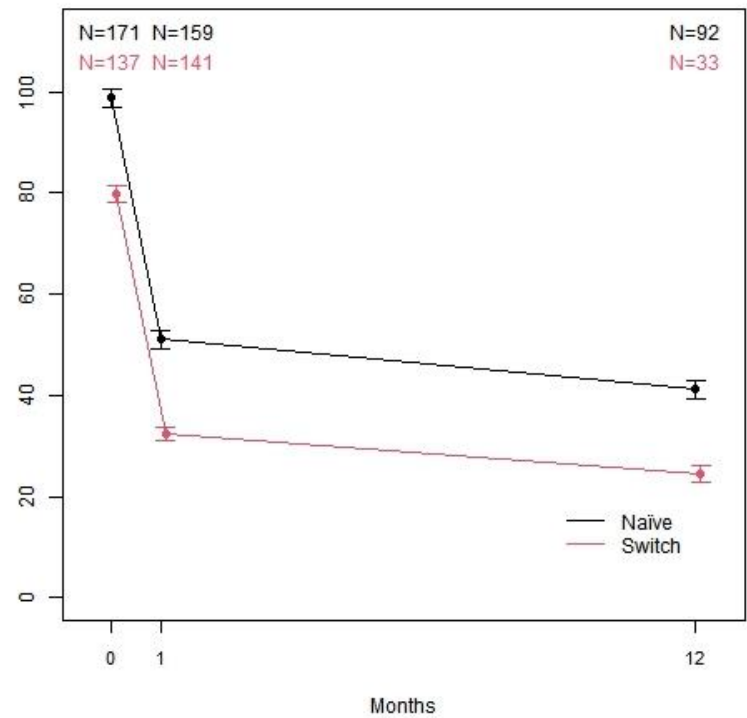


Test de la sueur

12-18 ans

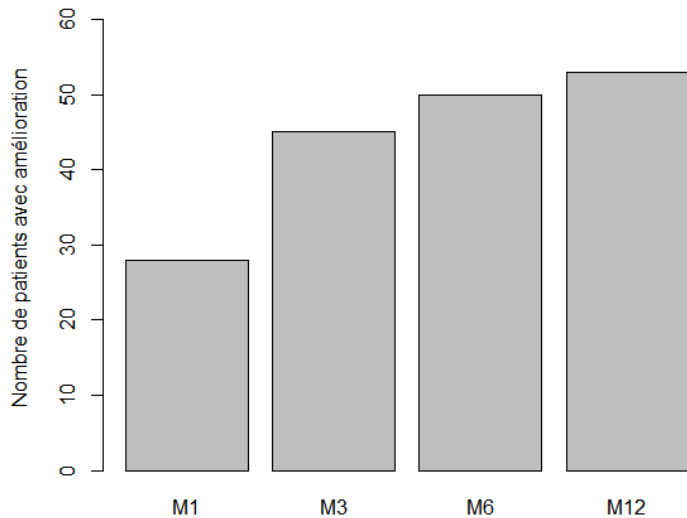


6-12 ans

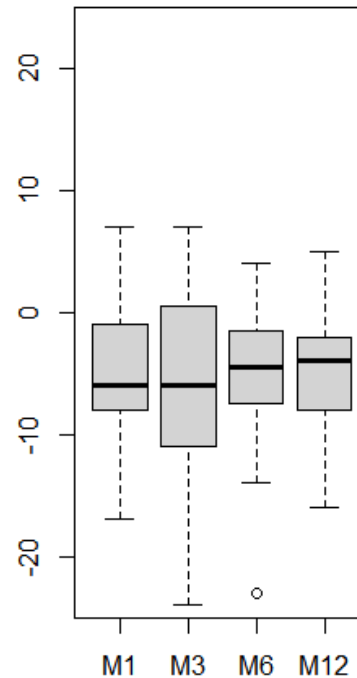


Atteinte ORL

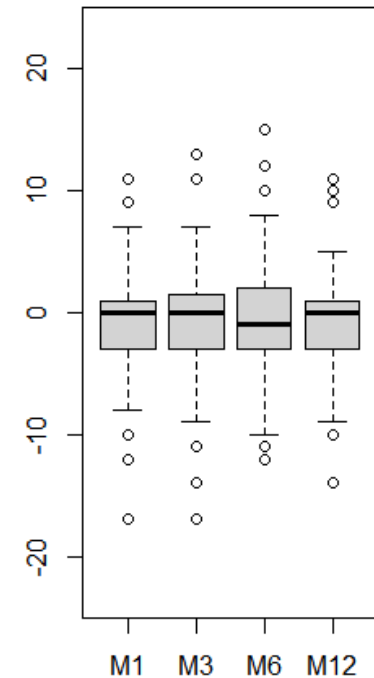
Amélioration par rapport à M0
(sur les 62 patients avec obstruction nasale à M0)



Change in SN5 compared to M0
Patients with nasal obstruction at M0



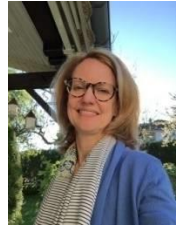
Change in SN5 compared to M0
Patients with no nasal obstruction at M0



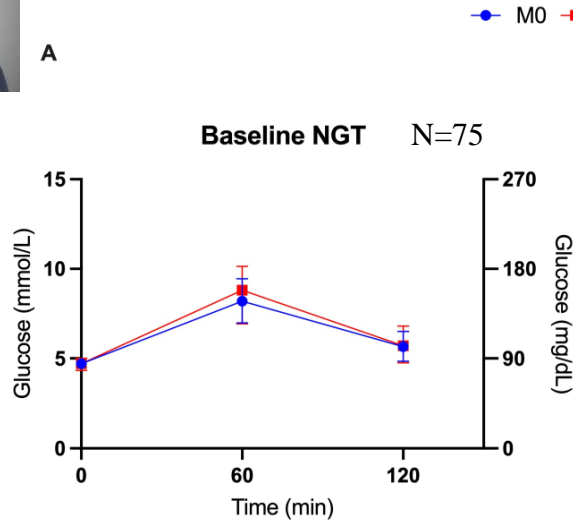
Score radiologique de Mac Kay) n=43

Diminution significative de 11 (7-15) à 4 (2-6); p=0,0001

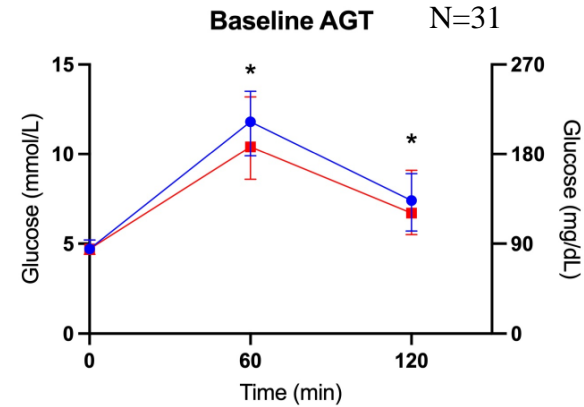
Tolérance au glucose, significativement améliorée



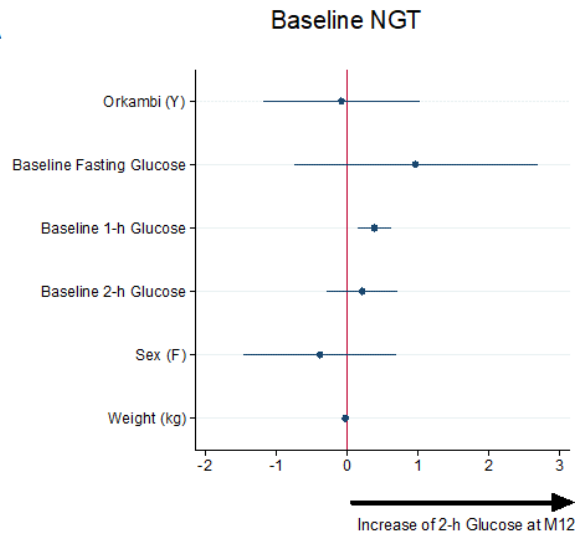
A



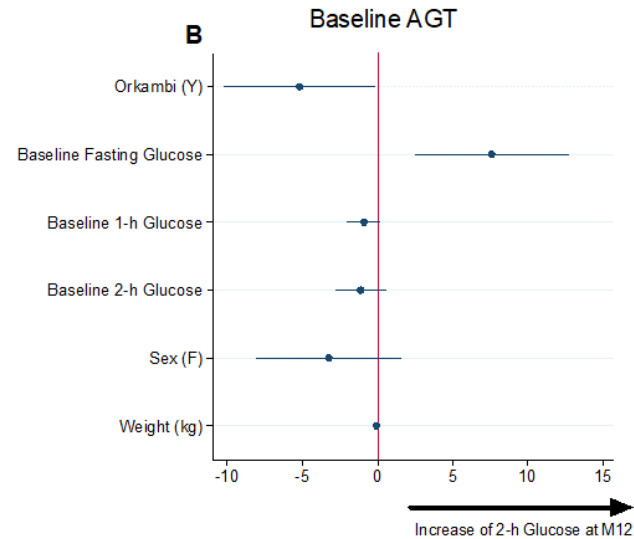
B



A



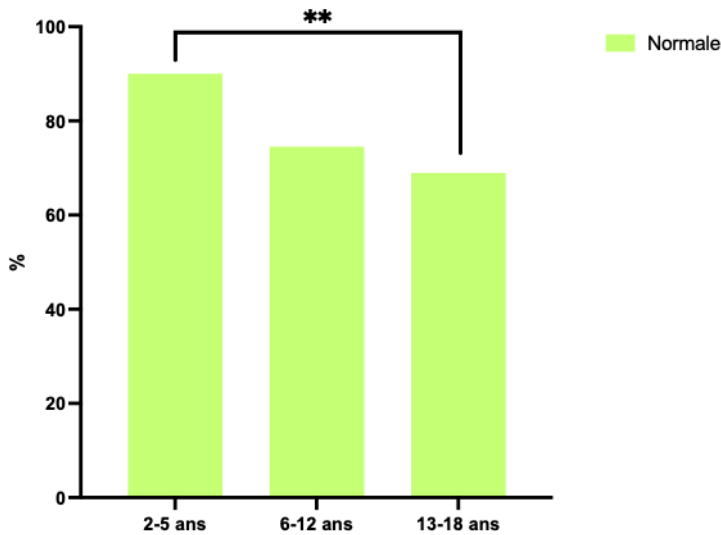
B



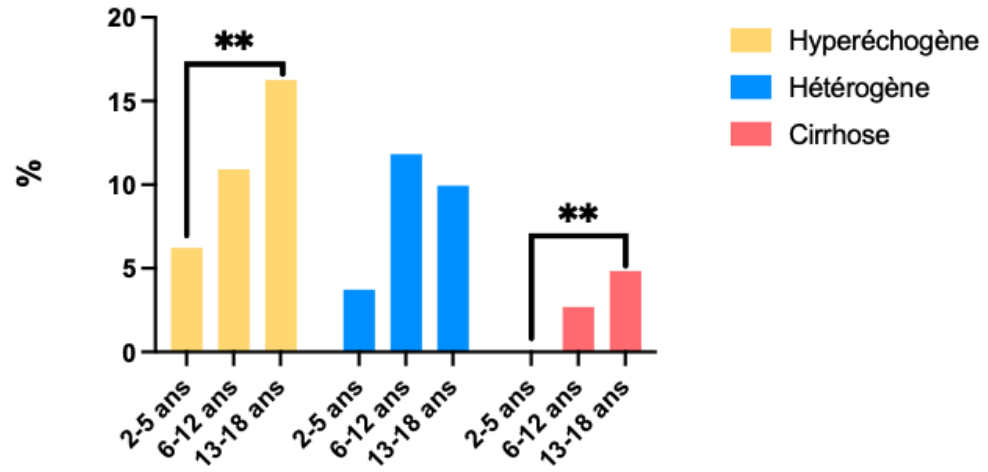
Atteinte hépatique avant le traitement modulateur



Evolution des échographies M0-M12 en % n=857



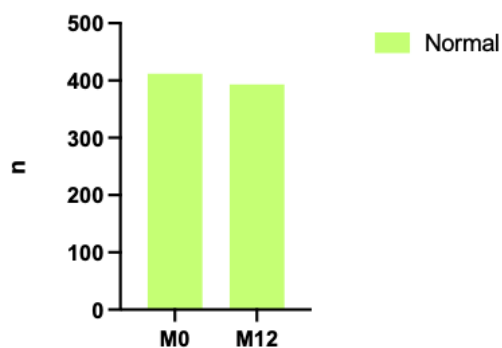
Evolution des échographies M0-M12 en % n=857



	2-5 ans	6-12 ans	13-18 ans
Total	201	279	377
GGT augmenté	3	41	29
%	1,5	14,6	7,6

Atteinte hépatique sous traitement modulateur

Répartition des échographies ORKAMBI



Répartition des échographies ORKAMBI

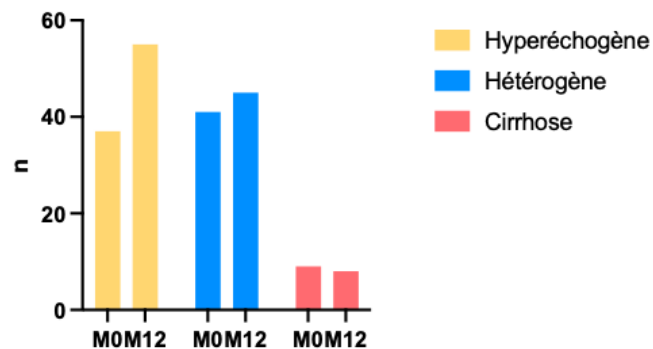
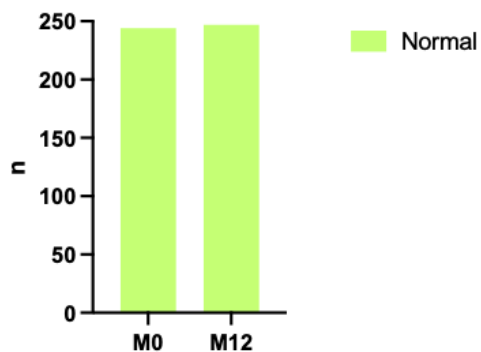
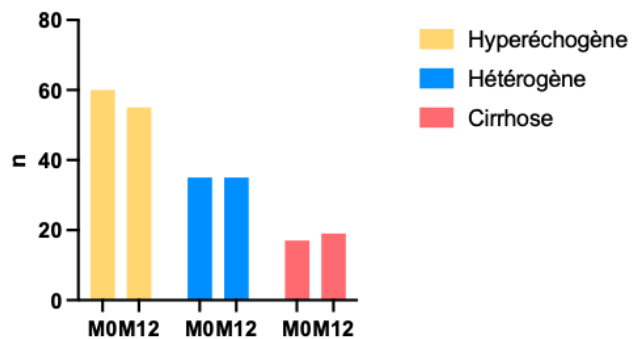


Fig8-9. Evolution classification échographie ORKAMBI

Répartition des échographies KAFTRIO

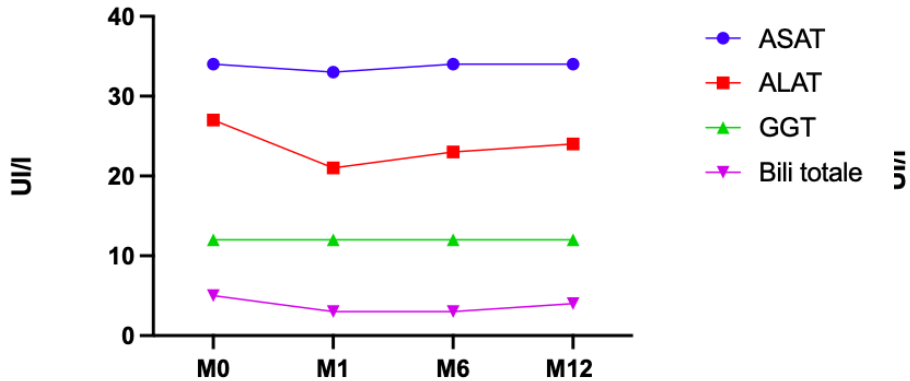


Répartition des échographies KAFTRIO

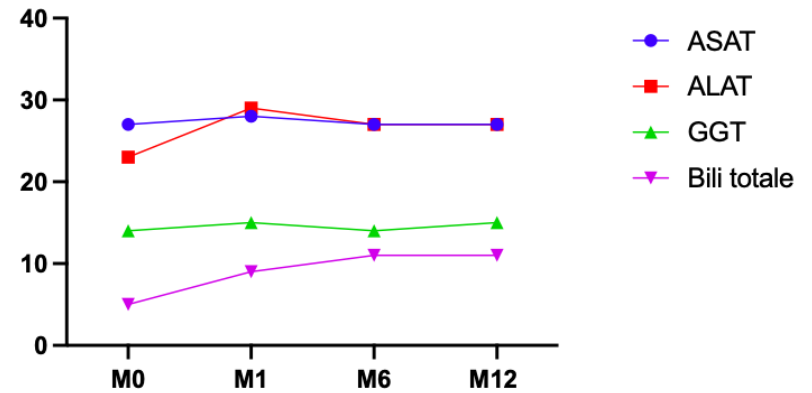


Atteinte hépatique

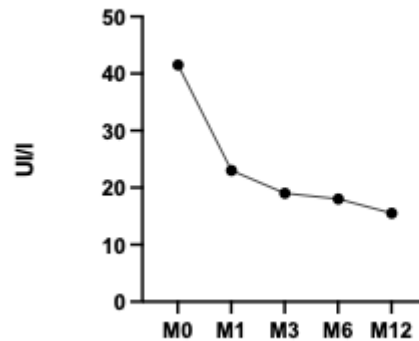
Cohorte « Orkambi » n= 501



Cohorte « Kaftrio » n= 356



Evolution taux GGT groupe GGT augmenté





Qualité de vie

*
La qualité de vie liée à la santé représente un concept très large dans lequel nous retrouvons plusieurs aspects tels que la santé physique, l'état psychologique, le niveau d'indépendance et d'autonomie et les relations sociales. Pour bien évaluer cette qualité de vie, il est indispensable que l'outil utilisé soit centré sur le ressenti de la personne. Dans la littérature scientifique, l'intérêt pour la qualité de vie chez l'enfant est relativement récent, et beaucoup reste à découvrir et comprendre comment bien l'évaluer, en particulier chez l'enfant suivi en pédiatrie. Dans cette étude notre objectif est celui de créer un questionnaire pour enfants et adolescents, afin de pouvoir ensuite l'utiliser comme outil dans la pratique clinique.
N°IRB : 00012022-64

Je comprends que la passation de ce questionnaire est un outil de travail pour Emmanuel Devouche, enseignant-chercheur à l'Université Paris Cité (LPPS-UR4057), et que son usage est exclusivement et strictement limité à la présente étude. Aucun usage n'en sera fait dans le cadre d'enseignement ou à des fins commerciales. Il est entendu qu'il m'est possible de demander toutes les explications que je désire sur l'usage qui sera fait de cet outil et qu'à tout moment je peux décider que je ne veux plus participer à l'étude.

Veillez sélectionner une réponse ci-dessous.

Je ne m'oppose pas à participer / à ce que mon enfant participe à cette étude



*
Tu te réveilles la nuit ?

Veillez sélectionner une réponse ci-dessous.

Exemples Parents

	Jamais	Rarement	Parfois	Souvent	Très souvent
Votre enfant se réveille la nuit	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
Votre enfant est agité/ ne tient pas en place	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>

2-3 ans (N=58) : α Cronbach=0.88: de 25 à 16 items

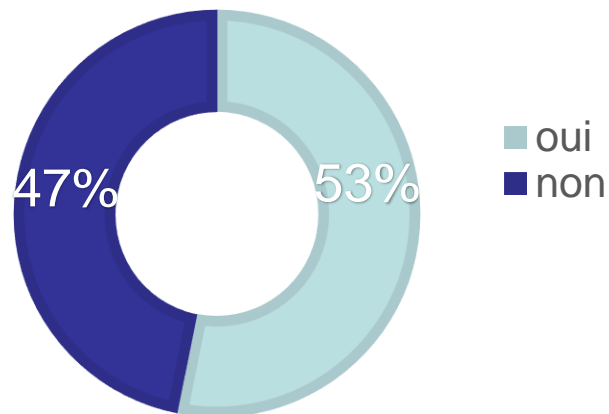
4-5ans (N=90) : α Cronbach=0.68: de 25 à 21 items

Parents < 6 ans (N=193) : α Cronbach=0.87: en cours

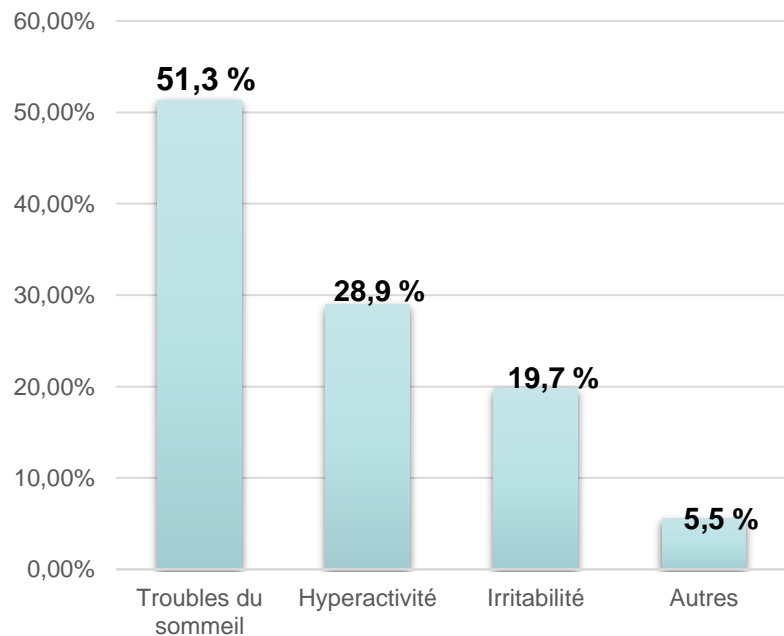
6-12 ans (N=140) : de 41 à 33 et maintenant 26 items

Ados adultes (N=166) : α Cronbach=0.94 de 74 à 33 items (PRO CF V3)

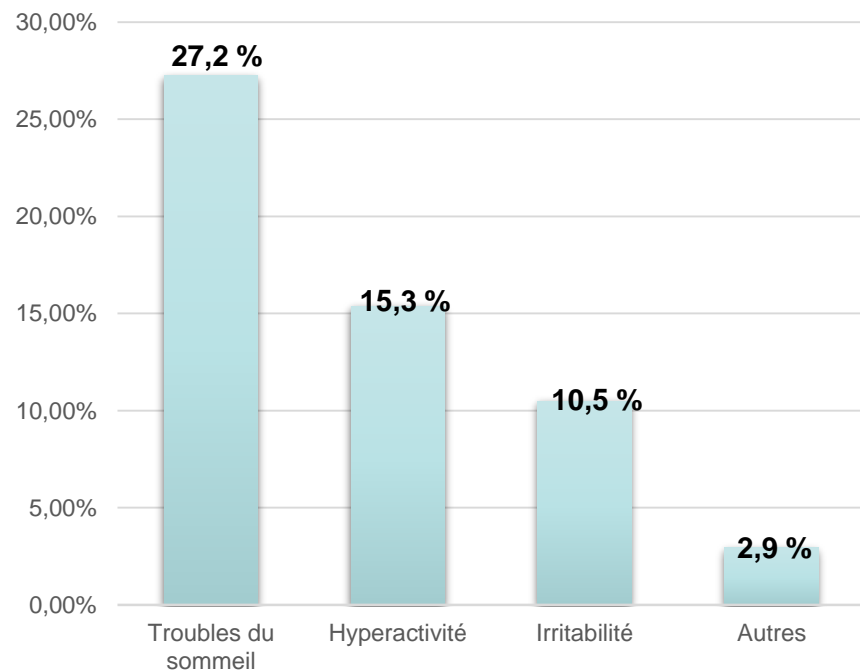
Troubles du comportement



% par rapport au nombre total de patients avec troubles (76)

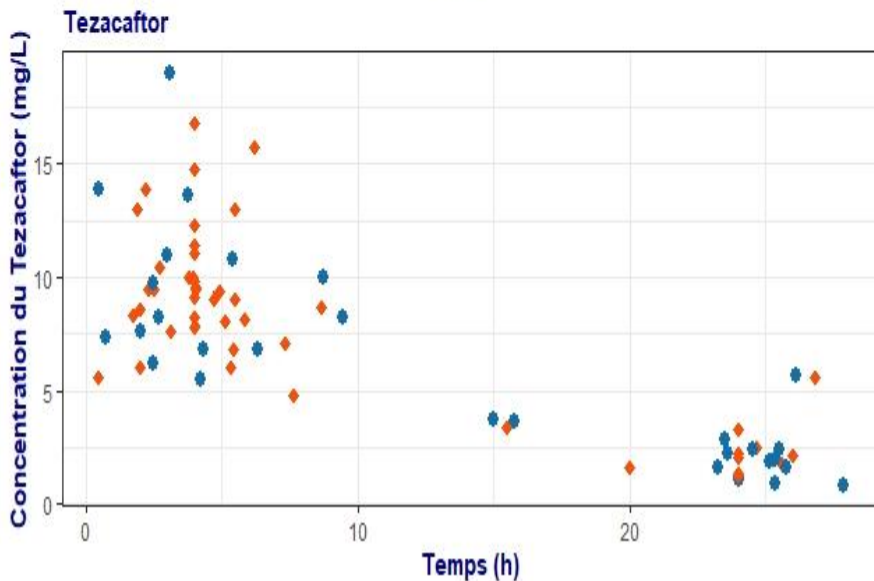
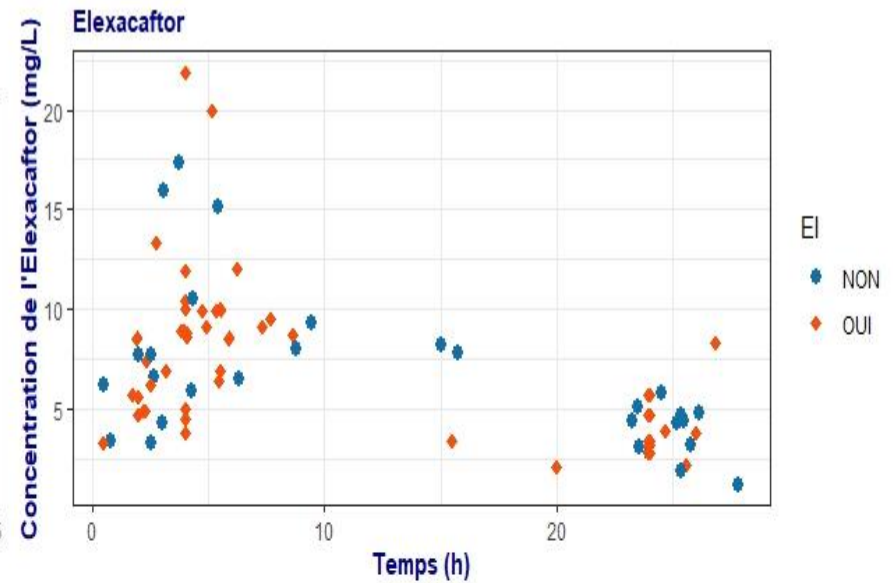
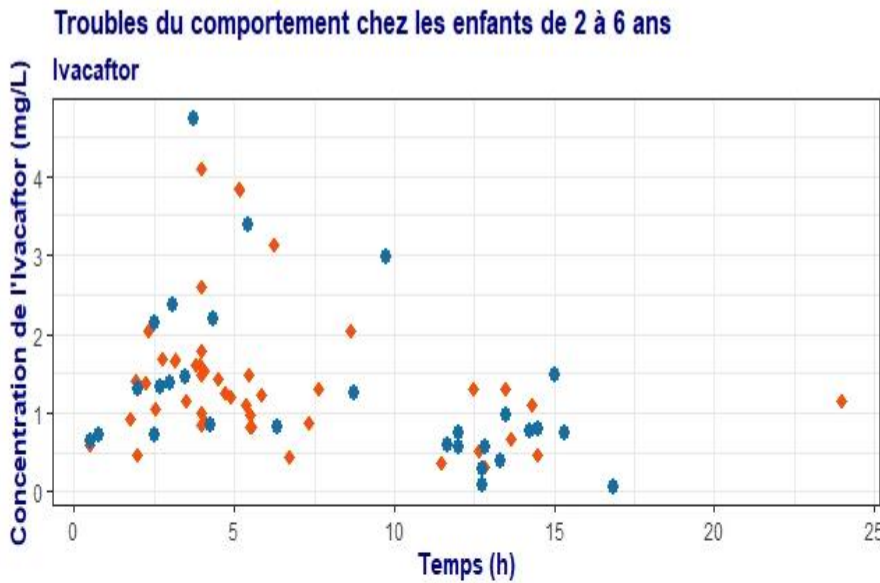


% par rapport au nombre total de patients (143):



Pas de corrélation avec le dosage sérique

Hoa Truong, F Foissac, S Benaboud
S Bui, T Bihouhée



Données 65 enfants (76 dosages)

37 patients présentant des troubles du comportement
28 patients ne présentant pas de troubles

Données du 01/12/2023 au
07/03/2024

