

Priorités de la recherche – Le point de vue des patients/proches



Introduction

Arrivée des nouveaux
traitements dans la
mucoviscidose



Evolution des priorités de
recherche pour les patients?

3 POPULATIONS CIBLES

Bénéficiaires
Modulateurs CFTR



Ne répondent PAS
aux
Modulateurs CFTR



Transplantés
Pulmonaires
(Problématiques spécifiques)



- Volonté de questionner les priorités des patients/proches
 - Enquête européenne
 - Réflexions menées par Vaincre La mucoviscidose (MucoLab, groupe ressource, Comité Stratégique de la Recherche (CSR))



Votre avis

Selon vous, quelles sont les attentes des patients et leurs priorités de recherche?



Aller sur <https://www.menti.com/>
code 2950 2042



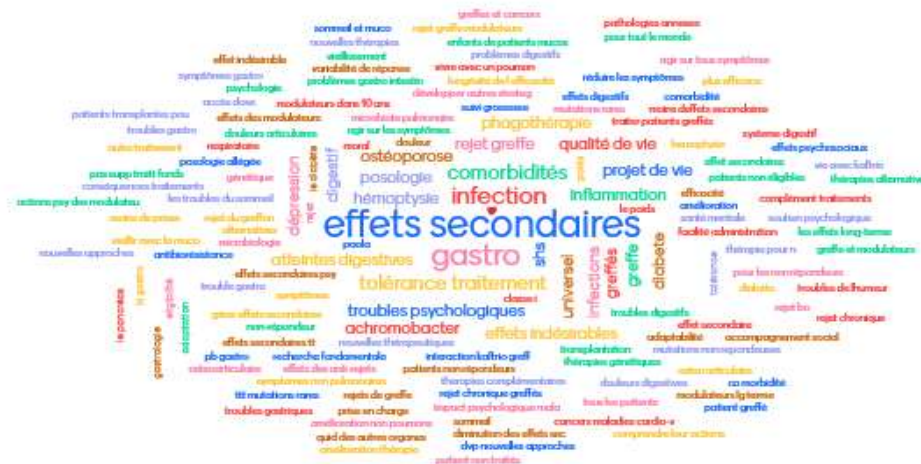
Vos réponses

Allez sur [menti.com](https://www.menti.com) | et utilisez le code 2950 2042



Quelles sont les thèmes de recherche prioritaires pour les patients à l'ère des modulateurs?

203 réponses





Enquête européenne

Rencontre
2024





Méthode

- Enquête de 2017, mise à jour en 2022

1/ Premier questionnaire

1600 réponses



900 suggestions sélectionnées



71 questions créées sur
les priorités de
recherche



THE JAMES LIND ALLIANCE
RESEARCH PRIORITIES REFRESH
FOR CYSTIC FIBROSIS

2/ Deuxième questionnaire

71 questions créées sur les
priorités de recherche



Identification de 10 questions
prioritaires

1382 réponses

1 155 anglais, 104 allemands, 95
français et 28 belges





Résultats : les 10 priorités de recherche

Quelles sont les alternatives pour les personnes qui ne bénéficient pas des modulateurs du CFTR actuels ?

Quelle est la meilleure façon de diagnostiquer une infection pulmonaire en l'absence d'expectorations, par exemple chez les personnes sous modulateurs ?

Comment gérer une population atteinte de mucoviscidose qui vieillit ?

Quels sont les effets sur le long terme des médicaments contre la mucoviscidose ?

Quels sont les effets des modulateurs de CFTR sur les organes autres que les poumons, tels que le pancréas, le foie, le système gastro-intestinal, les os ... ?

Les thérapies géniques peuvent-elles être utilisées comme traitement contre la mucoviscidose ?

Comment soulager les symptômes gastro-intestinaux ?

Existe-t-il un moyen de réduire les effets secondaires négatifs des antibiotiques chez les personnes atteintes de mucoviscidose ?

Quels sont les moyens efficaces d'alléger la lourdeur des traitements des personnes atteintes de mucoviscidose ?

Existe-t-il un moyen de prévenir le diabète lié à la mucoviscidose ?

★ Concerne également les patients transplantés



AG 2023 – Muco Lab

Rencontre
2024







Contexte



MucoLab
Assemblée Générale Vaincre la
Mucoviscidose 2023



Comment mieux tirer profit des données du **Registre français***
de la Mucoviscidose ?



Quelles sont les priorités des patients/proches en termes de
recherche ?

***Registre français** : données précises permettant d'évaluer les caractéristiques
et l'état de santé des personnes vivant avec la mucoviscidose.

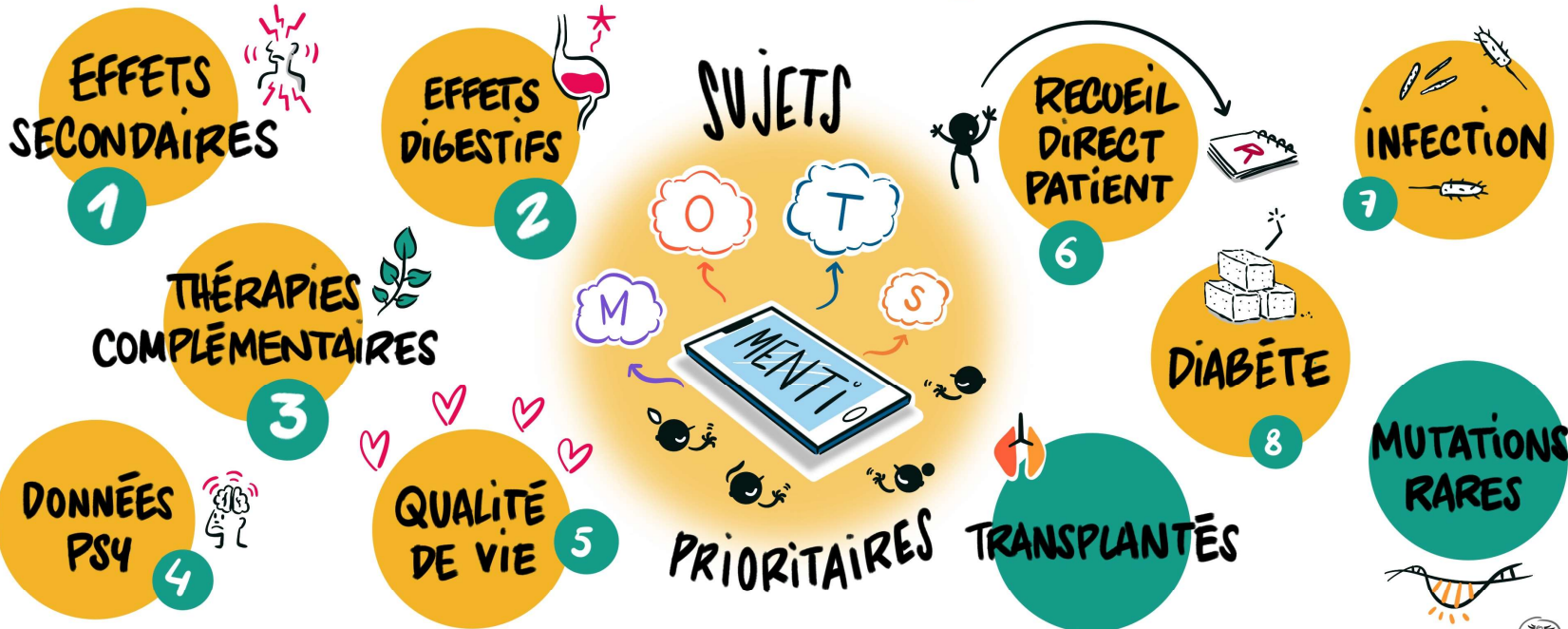
Résultats

MUCO LAB
REGISTRE FRANÇAIS de la MUCOVISCIDOSE



Filière
MUCO | CFTR

VAINCRE
LA MUCOVISCIDOSE



Résultats

MUCO LAB
REGISTRE FRANÇAIS de la MUCOVISCIDOSE



Filière
MUCO | CFTR

VAINCRE
LA MUCOVISCIDOSE



DES DONNÉES
À VULGARISER!

**NOS SUJETS
PRIORITAIRES**



⚡⚡⚡⚡ **GRAVITÉ** **DURÉE** ⌚ **1**
LES EFFETS SECONDAIRES

2
LA QUALITÉ DE VIE

3
ATTEINTE DIGESTIVE

4
MUTATIONS RARES

5
ATTEINTES HORS POUMONS
(ARTICULATIONS)

8
GREFFES
(COMMORBIITÉ)

6
INFECTIONS PULMONAIRES

7
FERTILITÉ

Qu'en est-il des SHS ?

Rencontre
2024





Contexte

Brainstorming
patients/proches



Priorités de la
recherche en termes
de SHS

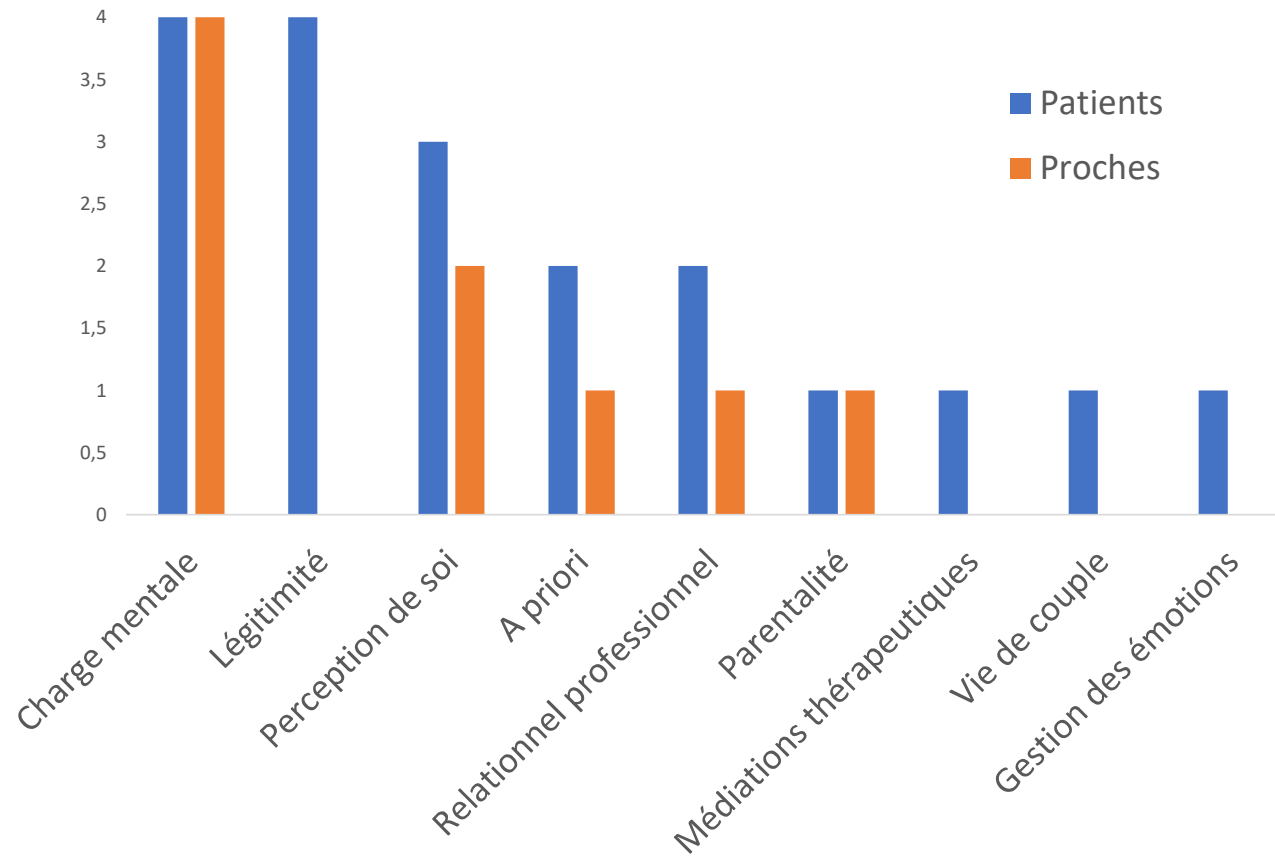


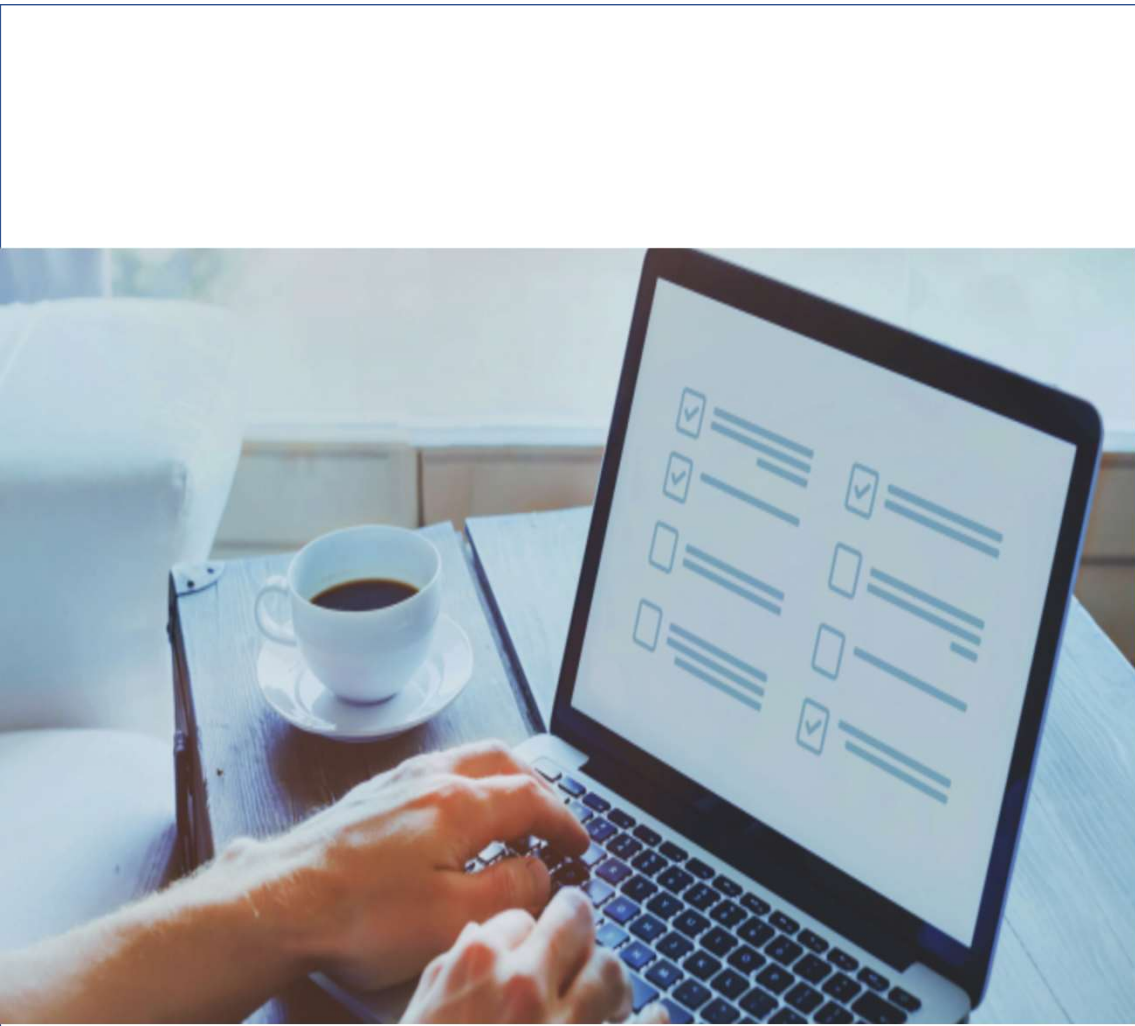
Journée SHS (26 juin
2023)



Résultats

Priorités de recherche en SHS pour les patients et proches





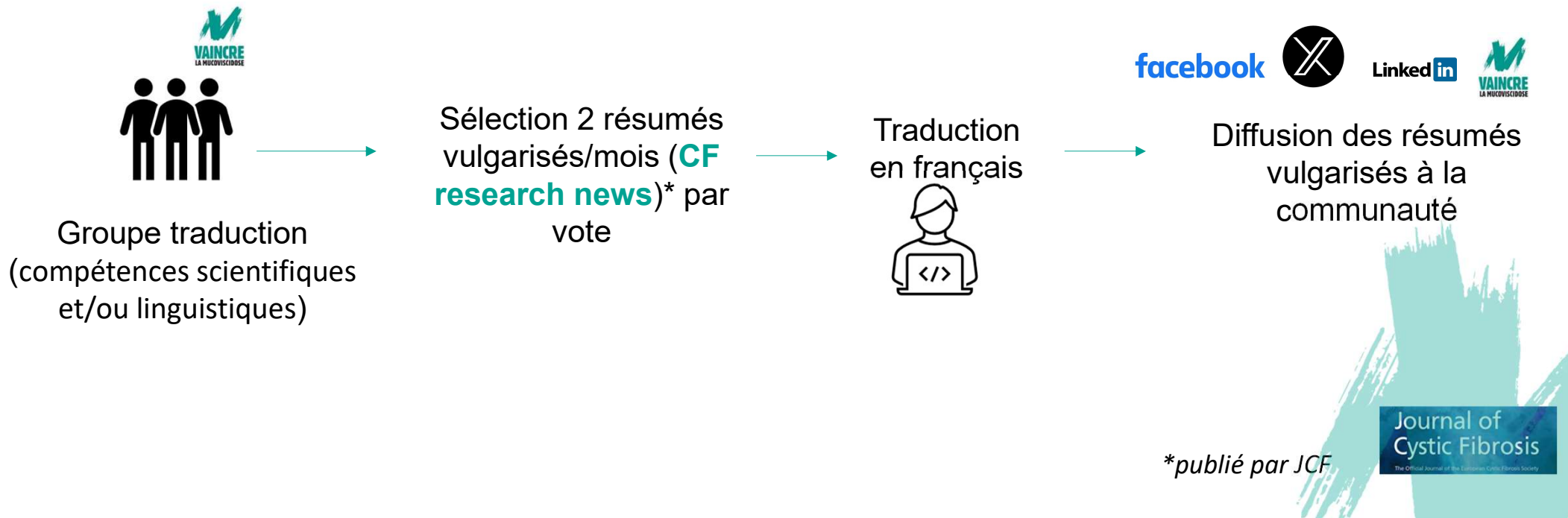
**Rendre accessibles les
résultats de la recherche :
une initiative française
portée par les patients et
leurs proches**

Rencontre
2024



Introduction : Focus sur le groupe traduction

- Groupe traduction composé de patients (25%), parents (38%), familles (31%) et sympathisants (6%)
- **Diffusion de résumés vulgarisés à la communauté mucoviscidose en France**



Contexte et Méthodes d'analyse

→ Travail réalisé dans le cadre d'une présentation au congrès de l'ECFS (juin 2022) puis mis à jour pour présentation au groupe traduction en décembre dernier

Objectifs du travail:

- Retour sur les 3 dernières années du processus de sélection, de traduction et de publication
- Identifier des sujets particulièrement d'intérêt pour les patients et les proches

Méthodes

Analyse

Indicateurs clés
de performance

Comparaison

Impressions : nombre de vues des publications

Taux d'engagement : nombre d'interactions (like, commentaires, partages) / nombres de vues *100

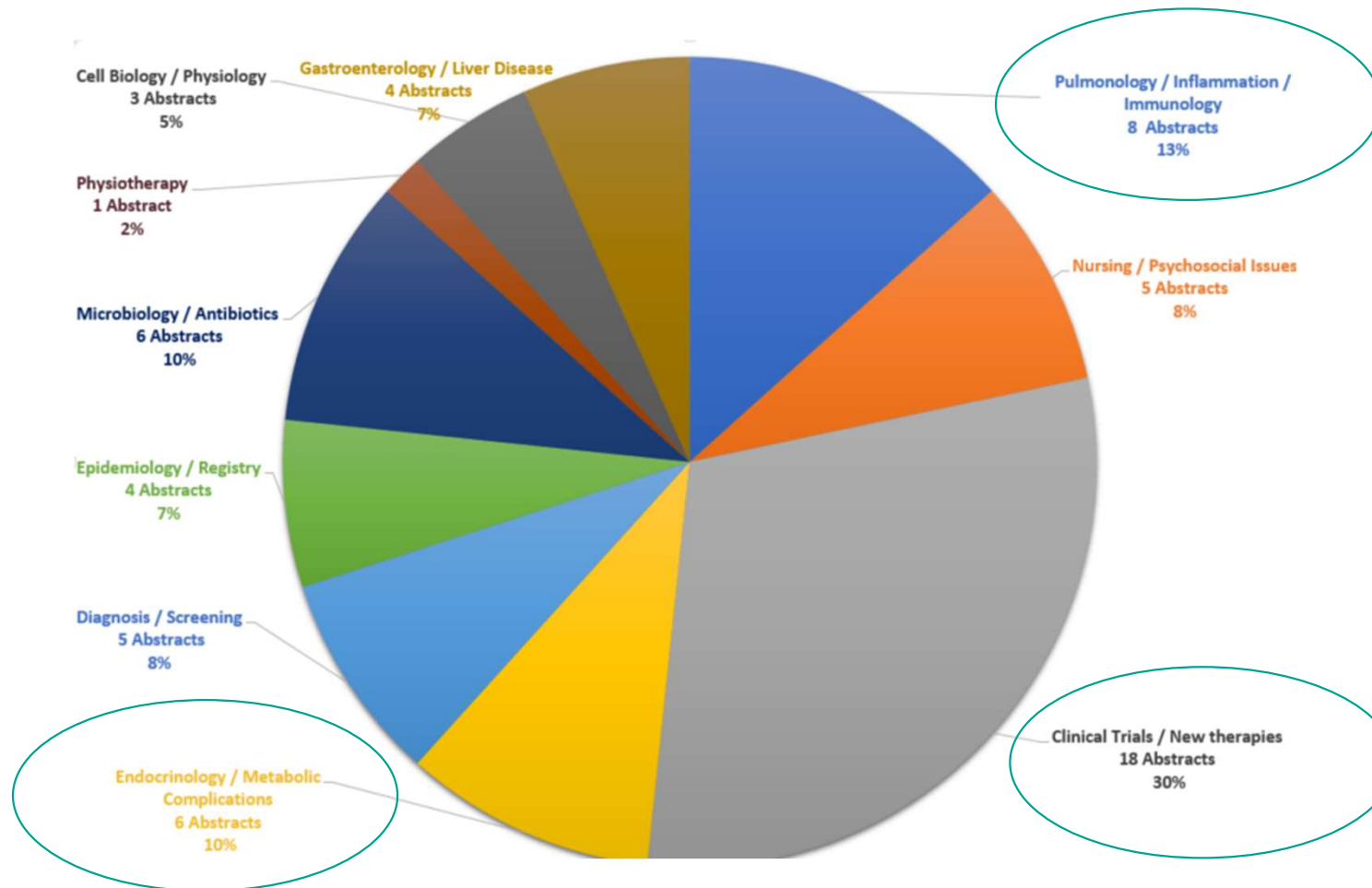
Répartition des sujets et mots clés les plus utilisés dans les titres des articles lus par la communauté
« mucoviscidose »

Analyses

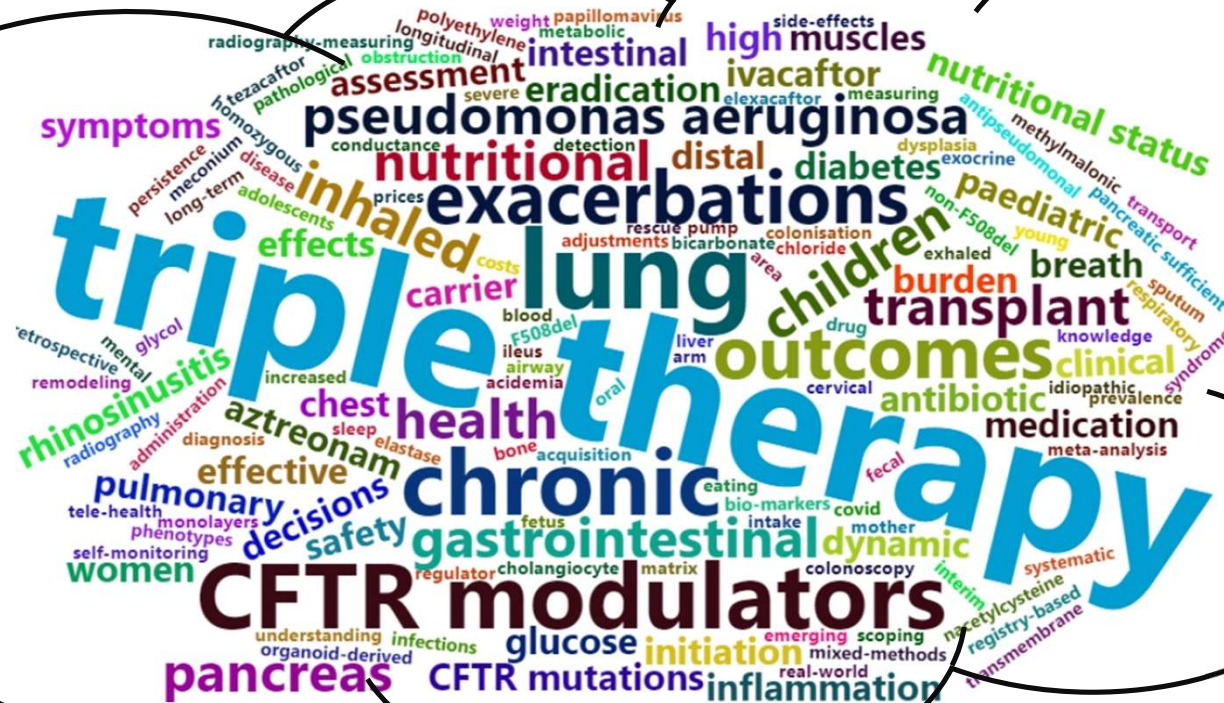
Outils : R 3.3.2 ou excel.



Résultats : Sujets et articles sélectionnés, traduits et diffusés en 2020-2021-2022



Résultats : Nuage de mots issues des titres des articles lus par la communauté 2022-2023



Ce nuage de mots regroupe les publications 2022-2023 (n=43 articles)

Au-delà des mots génériques (poumon, traitement, clinique) et des sujets d'actualité (Tri-thérapie et modulateurs), certains sujets sont particulièrement d'intérêt : **exacerbations, transplantation, gastrointestinal, pancréas, statut nutritionnel**



En résumé, quelles priorités de recherche pour les patients ?

Autres solutions thérapeutiques (cause de la maladie)

Symptômes extrapulmonaires (gastrointestinaux, diabète, arthropathie..)

Infections



Problématiques spécifiques à la transplantation

Sciences humaines et sociales (charge mentale, perception de soi..)

Sécurité des traitements à long terme



Conclusion

- De plus en plus d'initiatives sur le questionnement des besoins des patients/proches en termes de recherche
- Variété des domaines de recherche (fondamentales, cliniques, sciences humaines et sociales)
- Penser à toutes les populations de patients (avec ou sans modulateurs, transplantés ou non) mais aussi à tous les symptômes liés à la mucoviscidose
- Nécessité de travailler au plus près des besoins des patients

MERCI !



VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

Association reconnue d'utilité publique
et habilitée à recevoir des legs,
des donations et des assurances-vie
181 rue de Tolbiac 75013 Paris
Tél. : 01 40 78 91 91

