le cnam

Modélisation, Epidémiologie et Surveillance des risques sanitaires

Projet MUCOPRED

Prédiction du pronostic des patients atteints de mucoviscidose

Partenaires :
Institut National des Etudes Démographiques (INED)
Centre de Mucoviscidose Adultes de l'hôpital Cochin
Centre d'Etude et De Recherche en Informatique et Communications (CEDRIC), Cnam

Financement :
Projet financé par l'association Vaincre La Mucoviscidose (VLM) (118 K€) sur 3 ans.
Début du projet : octobre 2014
Fin du projet : juin 2018

Contexte du projet
Pour la mucoviscidose, la connaissance des populations de patients et l'établissement des indicateurs épidémiologiques liés à ces populations sont, quasi exclusivement, issus d'observatoires ou de registres. En dépit de méthodes de mesure différentes, et aux aléas de collecte près, une tendance de fond est rapportée par tous les pays qui disposent de ces observatoires ou registres : l'augmentation de la durée de vie des patients. La vie médiane avait atteint 36,4 ans en France en 2002 et 37,4 ans aux États-Unis en 2007. Les mécanismes ou facteurs expliquant la survie et le pronostic de la maladie relèvent de caractéristiques génétiques expliquant les différences de survie. La principale de ces caractéristiques est le spectre des mutations du gène CFTR. Le genre est depuis longtemps considéré comme un facteur prédictif de la dégradation de l'état de santé, les femmes atteintes de mucoviscidose étant plus exposées que les hommes, en particulier durant la période de la puberté. A ces facteurs se rajoutent des facteurs extrinsèques qui interviennent dans le pronostic plus ou moins favorable de la maladie. La première d'entre elles est sans doute l'âge auquel est porté le diagnostic de mucoviscidose. Il est aujourd'hui démontré qu'à la faveur du dépistage néonatal, une prise en charge précoce améliore certains paramètres cliniques, tel que la fonction pulmonaire, et diminue la charge thérapeutique. Il y a également d'autres caractéristiques acquises qui augmentent le risque de mortalité : un mauvais état nutritionnel, une infection à *Pseudomonas aeruginosa*, *Burkholderia cepacia* ou à *Staphylococcus aureus* résistant à la Méticilline, responsables de la dégradation de la fonction pulmonaire et à l'origine de la transplantation d'organes, ainsi que la présence d'un diabète en tant que complication majeure survenant à l'âge adulte.

Objectifs du projet
L'objectif principal de ce projet est d'avoir une meilleure connaissance des facteurs de risque de décès et de mettre en place un outil rigoureux pour la pratique et la recherche clinique au travers du développement et de la validation d'un modèle de survie à 2 et 5 ans chez les patients atteints de mucoviscidose. Ce modèle tiendra compte simultanément des principales caractéristiques de la maladie, afin de mieux comprendre l'effet relatif de chacune d'entre elles, et aider ainsi les cliniciens et les chercheurs à mieux évaluer les choix thérapeutiques possibles. L'objectif secondaire de ce projet est d'évaluer les évolutions de la survie liées à des changements dans les pratiques médicales, en particulier le dépistage néonatal, et de réaliser une analyse coût-efficacité.

Publications

Coriati A, Sykes J, Nkam L, Hocine MN, Burgel PR, Stephenson AL. **Validation of the French 3-year prognostic score using the Canadian CF registry**. ***Journal of Cystic Fibrosis***. 2019 May; 18(3):396-398.

Nkam L, Lambert J, Latouche A, Bellis G, Burgel PR, Hocine MN. **A 3-year prognostic score for adults with cystic fibrosis**. ***J Cyst Fibros***. 2017 Nov ;16(6):702-708.

https://mesurs.cnam.fr/projets-de-recherche/projets-termines/projet-mucopred-1327290.kjsp?RH=1620034858534