ORKAMBI[MC] : UNE AIDE POUR LES PERSONNES FIBRO-KYSTIQUES

PLUS DE 4 100 CANADIENS SONT ATTEINTS DE FK.

On a découvert plus de 2 000 mutations différentes du gène responsable de la FK. ORKAMBI[MC] convient aux patients porteurs de deux copies de la mutation la plus courante, la F508del. Environ 50 pour cent des Canadiens atteints de FK au Canada sont porteurs de deux copies de cette mutation.

QU'EST-CE QUE LA FIBROSE KYSTIQUE?

La fibrose kystique (FK) est une maladie évolutive génétique qui touche plusieurs systèmes du corps humain, par exemple les poumons et l'appareil digestif. La FK entraîne l'accumulation d'un mucus épais et visqueux dans les poumons, rendant la respiration difficile. Quatre-vingts pour cent des personnes atteintes de FK mourront d'une insuffisance pulmonaire. Selon les plus récentes données du Registre canadien sur la fibrose kystique, la moitié des Canadiens décédés des suites de la FK était âgée de moins de 35 ans.

QU'EST-CE QU'ORKAMBI[MC]?

ORKAMBI[MC] est un médicament contre la FK qui a été approuvé au Canada en janvier 2016. Il renferme une association d'ivacaftor et de lumacaftor.

COMMENT ORKAMBI[MC] AGIT-IL?

ORKAMBI[MC] cible la cause sous-jacente de la FK en vue de corriger la protéine CFTR (régulateur transmembranaire de la fibrose kystique) défectueuse. Le dysfonctionnement de la CFTR entraîne l'accumulation d'un mucus visqueux et épais dans les poumons et d'autres parties du corps.

À QUI S'ADRESSE ORKAMBI[MC]?

ORKAMBI[MC] est indiqué à l'heure actuelle chez les patients atteints de FK âgés de 12 ans ou plus qui sont porteurs de deux copies de la mutation F508del. Environ 1 550 patients au Canada pourraient être admissibles à recevoir ORKAMBI[MC].

ORKAMBI[MC] : UNE AIDE POUR LES PERSONNES FIBRO-KYSTIQUES

BIENFAITS POUR LES PATIENTS

Deux essais à répartition aléatoire, à double insu et contrôlés par placebo ont été menés par Vertex Pharmaceutiques, le fabricant d'ORKAMBI[MC]. Ces essais ont porté sur 1 108 personnes atteintes de FK âgées de 12 ans ou plus, parmi lesquelles 369 ont reçu ORKAMBI[MC] deux fois par jour pendant 24 semaines. Les résultats des patients ayant reçu le médicament ont été encourageants comparativement à ceux qui ont reçu le placebo.

- Amélioration de la fonction pulmonaire[i]
- Diminution des exacerbations de l'infection pulmonaire, cause majeure de la maladie pulmonaire fatale[ii]
- Diminution des hospitalisations[iii]
- Augmentation de l'indice de masse corporelle (IMC), associée à une augmentation de la survie[iv]

Fibrose kystique Canada MC

ORKAMBI[MC] : UN TRAITEMENT PRÉVENTIF REQUIS DÈS MAINTENANT

Il est important d'intervenir rapidement : ORKAMBI[MC] pourrait retarder la survenue de la maladie pulmonaire ou en ralentir l'évolution, mais il ne peut pas renverser les dommages structuraux déjà faits aux poumons. C'est pourquoi il importe de commencer le traitement par ORKAMBI[MC] le plus rapidement possible.

LES CLINIQUES DE FIBROSE KYSTIQUE ET LE REGISTRE CANADIEN SUR LA FIBROSE KYSTIQUE OFFRIRONT UNE PLATEFORME POUR LE LANCEMENT D'ORKAMBI[MC]

Le personnel des 42 cliniques de FK de partout au Canada est en mesure de prescrire de façon responsable ORKAMBI[MC] aux patients canadiens, de faire le suivi auprès d'eux et de consigner les données sur leur expérience réelle. Cette mesure garantira que seuls les patients qui retirent des bienfaits cliniques d'ORKAMBI[MC] poursuivent le traitement. Les données relatives à la réponse aux patients à ORKAMBI[MC] seront également consignées dans le Registre canadien sur la fibrose kystique, afin de documenter les résultats obtenus et de créer des données additionnelles utiles sur les répercussions du médicament et le meilleur usage qu'on peut en faire.

POUR EN SAVOIR DAVANTAGE

Pour en savoir plus sur ORKAMBI[MC], consultez le site (en anglais) : **http://www.orkambihcp.com/clinical-trials**.

---

i. ORKAMBI[MC] a amélioré la fonction pulmonaire. Dans l'essai 1 et l'essai 2, une amélioration respective de 2,6 et 3 pour cent a été constatée, selon la mesure du VEMS. Il s'agit d'une amélioration modeste, mais importante. Une diminution de 10 pour cent du VEMS est associée à un risque deux fois plus élevé de décès au cours des deux années qui suivent. Les patients sous ORKAMBI[MC] ont bien répondu; leur fonction pulmonaire s'est améliorée, sans décliner.

ii. Les patients sous ORKAMBI[MC] ont connu environ deux fois moins d'exacerbations de l'infection pulmonaire que ceux qui ne recevaient pas le médicament.

iii. La principale cause d'hospitalisation chez les patients atteints de FK est l'exacerbation de l'infection pulmonaire. ORKAMBI[MC] est associé à deux fois moins d'exacerbations de l'infection pulmonaire, ce qui signifie au moins deux fois moins d'hospitalisations.

iv. Les personnes atteintes de FK ont de la difficulté à prendre du poids et à le maintenir. La prise d'ORKAMBI[MC] est associée à une augmentation de l'IMC, ce qui entraîne une meilleure santé et une meilleure survie.