



## Essai Vertex VX-445-102

**Phase :** Phase III

**Traitement :** Triple association de modulateurs (ivacaftor, tézacaftor et élexacaftor)

**Population :** Patients atteints de FK dont le génotype incluait une copie de la Phe508del et une mutation à fonction minimale

**Âge :** 12 ans et plus

**Durée :** 24 semaines

### Résultats :

403 patients de partout sur la planète ont été répartis pour recevoir la trithérapie à l'étude ou un placebo pendant 24 semaines. Les résultats à analyser dans les deux groupes étaient les suivants : fonction pulmonaire (principalement la variation du pourcentage prédit du volume expiratoire maximal par seconde [VEMS]); taux d'exacerbations de la maladie pulmonaire; et score de la fonction respiratoire au questionnaire de mesure de la qualité de vie liée à la santé dans la fibrose kystique (CFQR).

Après 24 semaines, les sujets qui avaient reçu le médicament à l'étude ont obtenu un VEMS 14,3 % plus élevé que ceux du groupe placebo. Les réponses individuelles au médicament ont été variables, allant d'aucune variation du VEMS à plus de 30 % d'augmentation. Le taux d'exacerbations de la maladie respiratoire a été 63 % moins élevé dans le groupe de sujets qui avaient reçu le médicament à l'étude que dans le groupe placebo. Les patients ont attribué 20 points de plus au score de la qualité de vie du CFQR (une variation de 4 points est significative). Les effets indésirables ont été généralement légers ou modérés et ont mené à l'abandon de l'étude chez seulement deux patients du groupe sous traitement actif.

Depuis la publication des résultats de l'essai dans le *New England Journal of Medicine*, l'association élexacaftor-ivacaftor-tézacaftor (nom commercial : Trikafta) a été approuvée par la FDA. Santé Canada et d'autres organismes de réglementation doivent encore approuver le médicament avant qu'il soit offert aux Canadiens atteints de FK.

THE NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE

