

 **ORKAMBI®** thérapie  
protéique

C.BELLEGUIC, P.DAL COL, I. BERHAULT  
CRCM ADULTE RENNES OCT 2016

# \* Initiation au traitement

- \* Patients Homozygote  $\Delta F508$  = 43 patients (sur 1 cohorte de 116 patients)
- \* 20 patients initiés à ce jour sur 43
  - \* 6 prochainement
  - \* 7 patients informés ne souhaitent pas le ttt
  - \* 2 arrêts (1 à M3 et 1 après la 1<sup>ère</sup> prise)
  - \* 8 non informés encore
- \* Avant toute initiation bilan et examens à réaliser (ophtalmo, EFR, Bilan sang, scanner RX, ORL, Elastase, densitométrie osseuse...)
  - \* Si VEMS > 40 % en HDJ
  - \* Si VEMS < 40% HC sur 48h
- \* Séance ETP

# \* Effets indésirables Orkambi®

- \* Effets indésirables souvent notés
  - \* 4 Bronchospasmes à l'initiation ayant nécessité Beta2 courte durée d'action (aérosols de ventoline)
    - \* Pas d'arrêt définitif
    - \* Mais tous sous Beta 2 longue durée
  - \* Une patiente ayant arrêté après 3 mois du fait d'oppression thoracique
- \* Troubles digestifs ; douleurs abdominales, ballonnements, diarrhées, nausées vomissements
- \* Troubles des règles

# \* Evaluation et suivi paraclinique

- \* 1 mois EFR et bilan sanguin + évaluation état de santé
- \* 3 mois idem
- \* 6 mois idem
  - \* [ORKAMBI PRESENTATION 13 OCT - sans les noms.xlsx](#)
  - \* [Q satisfaction Orkambi GLOBAL.doc](#)
- \* 1 an examens identique au bilan initial +/- test de sueur