

## **Un traitement potentiel pour ralentir la progression de l'atteinte rénale chez les patients souffrant de polykystose**

La polykystose rénale est une maladie génétique touchant une personne sur mille. Jusqu'à présent, aucun médicament ne permettait d'enrayer la progression inéluctable de cette maladie. Les résultats d'un essai clinique important publiés dans le prestigieux *New England Journal of Medicine* et présentés le 3 novembre dernier, ouvrent la porte à un traitement potentiel pour ralentir la progression de la polykystose rénale.

Le Pr Olivier Devuyst, néphrologue aux Cliniques universitaires Saint-Luc, est un des principaux investigateurs de l'essai, auquel un nombre important de patients belges ont contribué.

La polykystose rénale est caractérisée par l'envahissement progressif du tissu rénal par de nombreux kystes, responsables d'une augmentation progressive de la taille des reins, entraînant l'apparition d'une insuffisance rénale et nécessitant, le plus souvent dans la cinquantaine, le remplacement de la fonction des reins (par la dialyse ou la transplantation). Cette maladie très fréquente (1 personne sur 1000, plus de dix millions de sujets atteints dans le monde) est génétique et se transmet sur le mode autosomique dominant, c'est-à-dire avec un risque de transmission aux enfants, sans préférence de sexe, de 50 %. Aucun médicament ne permettait jusqu'ici d'enrayer l'évolution de la maladie.

Les résultats de l'étude TEMPO<sup>1</sup>, présentés le 3 novembre à la réunion annuelle de la Société Américaine de Néphrologie et publiés en ligne dans le prestigieux *New England Journal of Medicine*<sup>2</sup>, montrent que la prise quotidienne de tolvaptan durant trois ans permet de ralentir de près de 50 % la croissance des kystes rénaux, d'en diminuer les symptômes et de retarder le déclin de la fonction rénale. Un nombre important de patients belges (UCL Saint-Luc, UZ Gent et AZ VUB) ont contribué à cet essai ayant requis la participation de 1400 participants dans 129 centres de par le monde. Le Pr Olivier Devuyst (Cliniques universitaires Saint-Luc / UCL) est un des principaux investigateurs de l'essai.

Le tolvaptan (Otsuka Pharmaceuticals Co) est un antagoniste du récepteur V2 de l'hormone anti-diurétique. La mise au point de ce traitement est le résultat de l'effort conjugué, durant une quinzaine d'années, de plusieurs équipes de chercheurs démontrant que le récepteur V2 de la vasopressine est un relais important dans cette maladie. Sur base de ces travaux, des études précliniques avaient préalablement montré que le tolvaptan était capable de bloquer l'expansion des kystes rénaux.

<sup>1</sup> Tolvaptan Efficacy and Safety in Management of Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease and its Outcomes

<sup>2</sup> <http://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa1205511>

Si le bénéfice observé à trois ans se maintient à plus long terme, ce médicament permettra de reculer l'âge d'apparition de l'insuffisance rénale. Il ouvre en tout cas une nouvelle voie thérapeutique potentielle pour les familles atteintes de cette maladie. Il reste maintenant à préciser les indications du traitement et à les faire reconnaître par l'INAMI.

Les résultats de cet essai seront présentés à la réunion annuelle de l'AIRG (Association pour l'Information et la Recherche sur les maladies Génétiques rénales), qui se tiendra le dimanche 18 novembre à Gosselies ([www.airg-belgique.org](http://www.airg-belgique.org)).

### Le saviez-vous ?

Le Service de néphrologie des Cliniques Saint-Luc comporte une clinique des maladies rénales génétiques (MRG). Il s'agit d'une consultation spécialisée, dédiée aux patients atteints de polykystose et autres MRG. Cette consultation associe des experts néphrologues adultes, un néphro-pédiatre et une généticienne.

### Infos

**Pr Olivier Devuyst**, chef de clinique au Service de néphrologie des Cliniques universitaires Saint-Luc, Tél. 02 764 18 55 | e-mail : [olivier.devuyst@uclouvain.be](mailto:olivier.devuyst@uclouvain.be)

**Pr Yves Pirson**, consultant au Service de néphrologie des Cliniques universitaires Saint-Luc, Tél. 02 764 18 61 | e-mail : [yves.pirson@uclouvain.be](mailto:yves.pirson@uclouvain.be)



### Contact Presse

Cliniques universitaires Saint-Luc (UCL)  
Avenue Hippocrate 10 – 1200 Bruxelles

Service communication : Caroline Bleus  
[caroline.bleus@uclouvain.be](mailto:caroline.bleus@uclouvain.be)

☎ 02 764 11 99 - 📞 02 764 89 02 - [www.saintluc.be/presse](http://www.saintluc.be/presse)