

ETUDES AUTOUR DE LA CYSTINOSE

DEVELOPPEMENT D'UN TRAITEMENT PAR CYSTEAMINE EN 2 PRISES PAR JOUR
&
OBSERVANCE AU TRAITEMENT PAR CYSTEAMINE ET COMPLICATIONS NEUROLOGIQUES

BONJOUR A TOUS

Voilà à peine quelques semaines que l'étude RP103-03 s'est achevée et c'est avec plaisir que nous partageons avec vous les premiers résultats dans cette seconde édition de votre newsletter. L'étude d'extension RP103-04 est toujours en cours et de nouvelles inclusions seront bientôt possibles.

Merci à tous : participants et familles pour votre grande implication et votre motivation !

RESULTATS DE L'ETUDE RP103-03

Les premiers résultats de l'étude sont sortis et sont positifs ! Ceux-ci montrent que **le nouveau produit (RP103) est aussi efficace que le Cystagon®**.

Par ailleurs, il est à noter qu'aucun événement indésirable nouveau ou inattendu n'a été remarqué dans cette étude.

L'ensemble des résultats sera prochainement publié en détail et nous ne manquerons pas de vous transmettre les références de ces publications.

PROJET CrYST_{obs}

Ce projet **PHRC France** a pour objectif d'étudier l'observance du traitement à la cystéamine et de comprendre les mécanismes physiopathologiques liés aux complications neurologiques de la cystinose.

Cette étude se finalise et nous espérons bientôt pouvoir vous la proposer. Certains aspects administratifs et logistiques restent encore à régler malgré l'obtention de toutes les autorisations (Afssaps et Comité de Protection des Personnes). Cette étude sera mise en place dans les mêmes centres que les deux études Raptor.

Si vous souhaitez participer à cette étude ou pour plus d'information, vous pouvez dès à présent nous contacter.

ETUDE RP 103 04 – Prochain recrutement

38 enfants et adultes ayant participé à l'étude RP103 03 poursuivent actuellement le nouveau traitement dans l'étude RP103 04. Celle-ci vise à étudier la tolérance et la sécurité d'utilisation du produit.

22 patients supplémentaires sont attendus dans cette étude sur les 9 centres répartis en Europe et aux Etats-Unis ; parmi eux, **les patients transplantés et les enfants de moins de 6 ans**.

En parallèle, une étude conduite par Raptor sur des personnes non atteintes de cystinose a montré la **bioéquivalence** entre le RP103 ingéré sous forme de **gélules ouvertes** comparativement au RP103 administré sous forme de **gélules intactes**. Grâce à ces résultats positifs, les patients ayant des difficultés à avaler les gélules intactes pourront être inclus dans l'étude RP103 04 et ouvrir leurs gélules.

Centre de coordination des projets

Chef de Projet : Segolene Gaillard – segolene.gaillard@chu-lyon.fr – Tél. : 04 27 85 77 28

ARC référent : Hanane Gheit – hanane.gheit@chu-lyon.fr – Tél. : 04 27 85 77 27

Médecins impliqués dans les projets

Lyon-Hôpital Femme Mère Enfant : Dr Pierre Cochat, Dr Aurélie Bertholet-Thomas – pierre.cochat@chu-lyon.fr – Tél. : 04 72 11 03 51

Montpellier- Hôpital Saint Eloi : Pr Denis Morin – d-morin@chu-montpellier.fr – Tél. : 04 67 33 66 07

Paris-Necker : Pr Patrick Niaudet – pniaudet@gmail.com – Tél. : 01 44 49 44 62

Paris-Robert Debré : Pr Georges Deschênes – georges.deschenes@rdb.aphp.fr – Tél. : 01 40 03 24 67