



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/173265/2026
EMA/H/C/006482

Daybu (*trofinétide*)

Aperçu en langage clair de Daybu et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Daybu et dans quel cas est-il utilisé?

Daybu est un médicament utilisé pour le traitement des symptômes neurocomportementaux du syndrome de Rett chez les adultes et les enfants âgés de 5 ans et plus. Le syndrome RETT est un trouble qui affecte le développement du cerveau. Il touche principalement les filles et les femmes et entraîne une déficience intellectuelle ainsi qu'une perte d'élocution et de compétences précédemment acquises entre l'âge de 6 et 18 mois.

Les symptômes neurocomportementaux du syndrome de Rett sont notamment les suivants: mouvements répétitifs des mains, agitation, problèmes d'humeur générale, anxiété, troubles du sommeil et problèmes de communication.

Le syndrome de Rett est rare et Daybu a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 10 août 2015 pour le traitement du syndrome de Rett. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3151534

Daybu contient la substance active trofinétide.

Comment Daybu est-il utilisé?

Daybu n'est délivré que sur ordonnance.

Il est disponible sous la forme d'un liquide à boire ou à administrer dans une sonde gastrique (à travers l'estomac) deux fois par jour.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Daybu, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Comment Daybu agit-il?

Le facteur de croissance analogue à l'insuline de type 1 (IGF-1) est une hormone importante pour le développement et le fonctionnement normaux du système nerveux. Dans le syndrome de Rett, les taux d'IGF-1 dans le cerveau sont inférieurs à la normale, ce qui aurait une incidence sur la fonction nerveuse.

La substance active de Daybu, la trofinétide, est constituée d'une molécule dérivée de l'IGF-1. Le mode d'action de la trofinétide dans le syndrome de Rett n'est pas clairement établi.

Quels sont les bénéfices de Daybu démontrés au cours des études?

Une étude principale a montré que le traitement par Daybu peut améliorer les symptômes neurocomportementaux des personnes atteintes du syndrome de Rett.

L'étude a porté sur 187 filles âgées de 5 ans et sur des femmes atteintes du syndrome de Rett qui ont reçu soit Daybu, soit un placebo (un traitement fictif) chaque jour pendant 12 semaines. Les principaux critères d'évaluation de l'efficacité étaient les modifications des scores des patients mesurées sur deux échelles standard: l'échelle RSBQ (*Rett syndrome behaviour questionnaire*, questionnaire relatif au comportement d'un patient atteint du syndrome de Rett), qui mesure les symptômes comportementaux, émotionnels et physiques d'un patient sur la base des réponses indiquées par son soignant, et l'échelle CGI-I (*clinical global impression of improvement*, impression clinique globale de l'amélioration), qui mesure l'amélioration globale de la santé d'un patient telle qu'observée par son médecin.

Le score total RSBQ maximal est de 90, les scores les plus élevés étant atteints lorsque les problèmes de comportement et d'émotions sont les plus importants. Sur l'échelle RSBQ, le score a diminué de 4,9 points en moyenne sous Daybu, contre une réduction de 1,7 point en moyenne sous placebo.

L'échelle CGI-I mesure l'amélioration globale de la santé, y compris les symptômes neurocomportementaux, sur une échelle à 7 points (un score de 1 indiquant que l'état de santé du patient s'est considérablement amélioré depuis l'instauration du traitement, alors qu'un score de 7 indique que l'état de santé du patient s'est nettement aggravé). Après 12 semaines, le score CGI-I moyen était de 3,5 sous Daybu, contre 3,8 sous placebo.

Les études portant sur Daybu sont plus amplement détaillées dans le rapport d'évaluation du médicament.

Quels sont les effets indésirables et les restrictions associés à l'utilisation de Daybu?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Daybu, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Daybu sont notamment les suivants: diarrhée (qui peut toucher 4 personnes sur 5) et vomissements (qui peuvent toucher une personne sur 4). La perte de poids est également très fréquente et peut toucher plus d'une personne sur 10.

Pourquoi Daybu est-il autorisé dans l'UE?

Bien que l'étude principale de Daybu ne fournisse pas de preuves sur certains des principaux symptômes du syndrome de Rett (tels que les convulsions), les données des échelles RSBQ et CGI-I ont montré une certaine amélioration des symptômes neurocomportementaux. L'Agence a estimé que, bien que minimales, ces améliorations étaient pertinentes dans le contexte d'un trouble rare et grave tel que le syndrome de Rett.

En termes de sécurité, Daybu provoque diarrhée et vomissements; bien que ces effets indésirables ne soient généralement pas graves, ils surviennent fréquemment, ce qui peut conduire les patients à arrêter le traitement. Daybu provoque également une perte de poids, qui pourrait affecter la croissance des jeunes patients atteints du syndrome de Rett. Les informations sur le produit relatives à Daybu comprennent des informations sur ces effets indésirables, afin d'en faciliter la prise en charge.

L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Daybu sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Daybu?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Daybu ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Daybu sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés signalés sous Daybu sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Daybu:

De plus amples informations sur Daybu, y compris la notice et le rapport d'évaluation, sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/daybu.

Pour obtenir des informations sur la disponibilité de ce médicament dans votre pays, contactez votre [autorité nationale compétente](#)