

June 26, 2026

DAYBU® (trofinétide) recommandé dans l'UE par le CHMP pour le traitement du syndrome de Rett

-- Une décision de la Commission européenne attendue dans les mois à venir

-- Si approbation, DAYBU® deviendra le premier traitement du syndrome de Rett dans l'Union européenne

SAN DIEGO--([BUSINESS WIRE](#))--Acadia Pharmaceuticals Inc. (Nasdaq : ACAD) a annoncé ce jour que le Comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) a rendu un avis favorable recommandant l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché du DAYBU® (trofinétide) dans le traitement des symptômes neuro-comportementaux du syndrome de Rett chez l'adulte et en pédiatrie chez des patients âgés de 5 ans et plus. Si cette autorisation est accordée par la Commission Européenne, DAYBU® deviendra le premier traitement approuvé dans cette indication au sein de l'Union Européenne (UE).

« L'avis positif de DAYBU® par le CHMP est une étape importante de notre mission qui consiste en la mise à disposition de ce traitement innovant aux personnes atteintes du syndrome de Rett en Europe. Catherine Owen Adams, Présidente Directrice Générale d'Acadia a déclaré, « Depuis longtemps, les familles impactées par le syndrome de Rett n'ont eu accès à aucun traitement pour cette maladie dévastatrice ». « La décision de ce jour reflète des années de dévouement et de collaboration, et nous poursuivrons notre engagement pour rendre disponible ce traitement pour les patients de toute l'Europe et au plus vite. Notre objectif est d'apporter une différence significative pour la vie des patients, des aidants et de la communauté Rett au sens plus large et ainsi répondre à ce besoin important et non satisfait. »

La recommandation du CHMP est principalement basée sur les résultats de l'étude de phase 3 LAVENDER™, qui a démontré des améliorations statistiquement et cliniquement significatives des caractéristiques principales du syndrome de Rett, mesurées par le questionnaire du comportement dans le syndrome de Rett (Rett Syndrome Behaviour Questionnaire, RSBQ) et l'échelle d'impression clinique globale -Amélioration (Clinical Global Impression-Improvement, CGI-I). Ces résultats démontrent principalement que le traitement peut répondre à certains critères très contraignants du syndrome de Rett, dont l'impact sur la qualité de vie des patients et des aidants est sévère.

Pedro Rocha, président de Rett Syndrome Europe » a déclaré « Depuis des décennies, les familles Européennes affectées par le syndrome de Rett ne disposent d'aucune option thérapeutique approuvée, bien que cette maladie entraîne un impact sévère sur presque tous les aspects de la vie des patients ». « L'avis favorable du CHMP représente un espoir pour des milliers de personnes vivant avec cette maladie dévastatrice, tout comme pour leurs familles et leurs aidants. »

À la suite de cette recommandation du CHMP, la Commission européenne examinera l'avis et devrait émettre une décision finale dans les mois à venir. Si DAYBU® obtient une approbation, celle-ci s'appliquera aux 27 États membres de l'UE, tout comme en Islande, au Liechtenstein et en Norvège.

À propos du syndrome de Rett

Le syndrome de Rett est un trouble neurodéveloppemental rare et complexe qui survient chez environ une femme sur 10 000 à 15 000 naissances dans le monde entier¹⁻³. Un enfant atteint du syndrome de Rett présente en général une période précoce de développement apparemment normale jusqu'à six à 18 mois, où de nombreuses compétences semblent ralentir ou stagner. Cela est généralement suivi d'une phase de régression où l'enfant perd ses capacités de communication acquises et l'utilisation volontaire des mains. L'enfant peut alors présenter une phase en plateau au cours de laquelle il peut présenter une légère récupération des intérêts cognitifs, cependant les mouvements corporels restent fortement amoindris. Avec l'âge, les patients atteints de syndrome de Rett peuvent continuer de présenter une détérioration motrice, pouvant s'installer toute leur vie². Le syndrome de Rett est généralement causé par une mutation génétique du gène *MECP2*⁴. Dans les études précliniques, le déficit de la fonction de MeCP2 est considéré comme entraînant une altération des échanges synaptiques et de plasticité cérébrale. Ce déficit de la fonction synaptique peut être associés aux manifestations de Rett⁴⁻⁶.

Les caractéristiques du syndrome de Rett peuvent également inclure le développement d'une stéréotypie des mains, qui consiste en une torsion ou claquement des mains, ainsi que des anomalies à la marche⁷. La plupart des personnes atteintes du syndrome de Rett vivent généralement jusqu'à l'âge adulte et nécessitent des soins très importants 24 heures sur 24^{1,8}.

À propos de DAYBU®

DAYBU® (trofinétide) est un analogue synthétique du tripeptide N-terminal du facteur de croissance analogue à l'insuline 1.

À propos d'Acadia Pharmaceuticals

Acadia s'engage à transformer les promesses scientifiques en innovations significatives faisant la différence auprès des communautés en manque en neurologie ainsi que pour les communautés atteintes de maladies rares dans le monde entier. Notre portefeuille commercial comprend les premiers et uniques traitements approuvés par la Food and Drug Administration (FDA) dans la psychose de la maladie de Parkinson et le syndrome de Rett. Nous développons les prochaines avancées thérapeutiques avec un pipeline robuste et diversifié comprenant des programmes de développement à des stades intermédiaires ou avancés dans la psychose de la maladie d'Alzheimer et la psychose de la maladie à corps de Lewy, tout comme des programmes de développement à des stades plus précoces répondant à d'autres besoins non satisfaits pour les patients. Chez Acadia, nous sommes là pour eux et pour faire la différence. Pour plus d'informations, rendez-vous sur [acadia.com](https://www.acadia.com) et suivez-nous sur [LinkedIn](https://www.linkedin.com/company/acadia-pharmaceuticals) et [X](https://twitter.com/acadia_pharm).

Déclarations prospectives

Ce communiqué de presse contient des déclarations prospectives au sens du Private Securities Litigation Reform Act de 1995. Les déclarations prospectives comprennent toutes les déclarations autres que celles portant sur des faits historiques et peuvent être identifiées par des termes tels que « peut », « sera », « devrait », « pourrait », « entend », « prévoit », « planifie », « anticipe », « croit », « estime », « projette », « prédit », « potentiel », « prévisions », « poursuivre » et des expressions similaires (y compris leur forme négative) destinées à identifier les déclarations prospectives.

Les déclarations prospectives contenues dans ce communiqué de presse incluent, sans s'y limiter, des déclarations concernant l'approbation attendue ou potentielle du trofinétide ou de DAYBU® par la Commission européenne, y compris le calendrier potentiel d'une telle approbation, ainsi que, en cas d'approbation, les bénéfices potentiels du trofinétide dans le traitement des symptômes neurocomportementaux du syndrome de Rett et l'importance du trofinétide pour les patients, les aidants et la communauté Rett.

Les déclarations prospectives sont soumises à des risques connus et inconnus, à des incertitudes, à des hypothèses et à d'autres facteurs susceptibles d'entraîner des différences significatives et défavorables entre nos résultats, performances ou réalisations réels et ceux anticipés ou sous-entendus dans nos déclarations prospectives. Ces risques, incertitudes et autres facteurs comprennent notamment, sans s'y limiter, l'incertitude inhérente au développement de candidats médicaments, y compris l'approbation du trofinétide par la Commission européenne ; notre dépendance à la poursuite de la commercialisation réussie de nos produits et notre capacité à maintenir ou à accroître les ventes de nos produits ; notre capacité à obtenir les autorisations réglementaires nécessaires pour commercialiser nos produits et candidats médicaments ; ainsi que, en cas d'approbation, l'acceptation de nos produits par le marché et notre capacité à continuer de respecter les lois et réglementations applicables.

Compte tenu de ces risques et incertitudes, il convient de ne pas accorder une confiance excessive à ces déclarations prospectives. Pour une description de ces risques, incertitudes et autres facteurs susceptibles d'entraîner des différences entre nos résultats, performances ou réalisations réels et ceux anticipés, veuillez vous référer à notre rapport trimestriel sur formulaire 10-Q pour la période close le 31 mars 2026, déposé le 7 mai 2026, ainsi qu'à nos dépôts ultérieurs auprès de la Securities and Exchange Commission.

Les déclarations prospectives contenues dans le présent document sont faites à la date des présentes, et nous ne nous engageons aucunement à les mettre à jour après cette date, sauf dans la mesure requise par la loi.

Références

¹ Fu C, Armstrong D, Marsh E, et al. Consensus guidelines on managing Rett syndrome across the lifespan. *BMJ Paediatrics Open*. 2020;4:e000717.

² Kyle SM, Vashi N, Justice MJ. Rett syndrome: a neurological disorder with metabolic components. *Open Biol*. 2018; 8:170216.

³ May DM, Neul JL, Satija A, et al. Real-world clinical management of individuals with Rett syndrome: a physician survey. *J Med Econ*. 2023;26(1):1570–1580.

⁴ Amir RE, Van den Veyver IB, Wan M, et al. Rett syndrome is caused by mutations in X-linked MECP2, encoding methyl-CpG-binding protein 2. *Nat Genet*. 1999; 23(2):185-188.

⁵ Fukuda T, Itoh M, Ichikawa T, et al. Delayed maturation of neuronal architecture and synaptogenesis in cerebral cortex of Mecp2-deficient mice. *J Neuropathol Exp Neurol*. 2005; 64(6):537-544.

⁶ Asaka Y, Jugloff DG, Zhang L, et al. Hippocampal synaptic plasticity is impaired in the Mecp2-null mouse model of Rett syndrome. *Neurobiol Dis*. 2006; 21(1):217-227.

⁷ Neul JL, Kaufmann WE, Glaze DG, et al. Rett syndrome: revised diagnostic criteria and nomenclature. *Ann Neurol*. 2010; 68(6):944-950.

⁸ Tarquinio DO, Hou W, Neul JL, et al. The changing face of survival in Rett syndrome and MECP2-related disorders. *Pediatr Neurol*. 2015; 53(5):402-411.

Contacts

Coordonnées de l'investisseur :

Acadia Pharmaceuticals, Inc.

Al Kildani

(858) 261-2872

ir@acadia-pharm.com

Acadia Pharmaceuticals, Inc.
Jessica Tieszen
(858) 261-2950
ir@acadia-pharm.com

Contact avec les médias :
Acadia Pharmaceuticals, Inc.
Deb Kazenelson
(818) 395-3043
media@acadia-pharm.com

Source: Acadia Pharmaceuticals Inc.