

# Etude CrYST<sub>obs</sub>

La cystinose est caractérisée par une accumulation de cristaux de cystine dans différents organes et tissus. Le **Cystagon®** (Orphan Europe) est actuellement l'unique forme orale de cystéamine, qui permet d'empêcher l'accumulation de cystine. Sa **principale limite** en est l'**observance** des patients en raison des effets secondaires du produit et de l'obligation de le prendre **toutes les 6 heures**.

Le développement d'une **forme à Libération Prolongée (LP) de cystéamine** doit permettre **d'améliorer l'observance** en **diminuant le nombre de prises** par une libération contrôlée de la cystéamine et les **effets secondaires** en masquant à la fois l'odeur et le goût. Cette **nouvelle formulation** est en cours de développement (**RP103, Raptor Pharmaceuticals**). Ce développement est coordonné en France par les Hospices Civils de Lyon.

Notre étude, complémentaire au développement de cette nouvelle molécule, se déroulera dans deux hôpitaux parisiens, Necker et Robert Debré, à Lyon et à Montpellier.

La prévention des atteintes tardives de la maladie telles que **les complications neurologiques** et **l'amélioration de l'observance des patients** au traitement restent les deux principaux challenges dans la cystinose.

L'étude **CrYSTobs** cherche d'une part, à **décrire les relations entre l'observance** des patients traités par cystéamine et **l'efficacité du traitement**, et d'autre part, à comprendre les mécanismes physiopathologiques liés aux **complications neurologiques**.

**Hypothèses** : Si l'observance au traitement influence le taux de cystine dans les leucocytes, nous devrions pouvoir améliorer le suivi thérapeutique des patients atteints de cystinose. Un suivi précis de la cystéamine dans le système nerveux central devrait nous permettre une meilleure compréhension de la distribution de cette molécule dans le système nerveux central.

## Pourquoi participer à cette étude?

Votre participation à cette étude permettra d'envisager une **meilleure compréhension des complications neurologiques** de la maladie et **l'impact de votre traitement**. Vous contribuerez personnellement aux avancées scientifiques sur le sujet.

Ce projet est mis en place au travers de la **Société Française de Néphrologie** regroupant les meilleurs spécialistes de la maladie en France.

# Cystinose

## CrYST<sub>obs</sub>

**Cohorte de patients atteints de cystinose :  
observance et complications neurologiques**

“ Pour une meilleure  
compréhension des  
complications neurologiques de  
la cystinose néphropathique ”

## Un essai clinique à venir

La cystéamine passe-t-elle la barrière hémato-  
encéphalique? Quel est son rôle ?

Quel est l'impact de l'accumulation de cystine?



Hospices de Lyon

Instituts  
éomatiques



**Inserm**

Institut national  
de la santé et de la recherche médicale

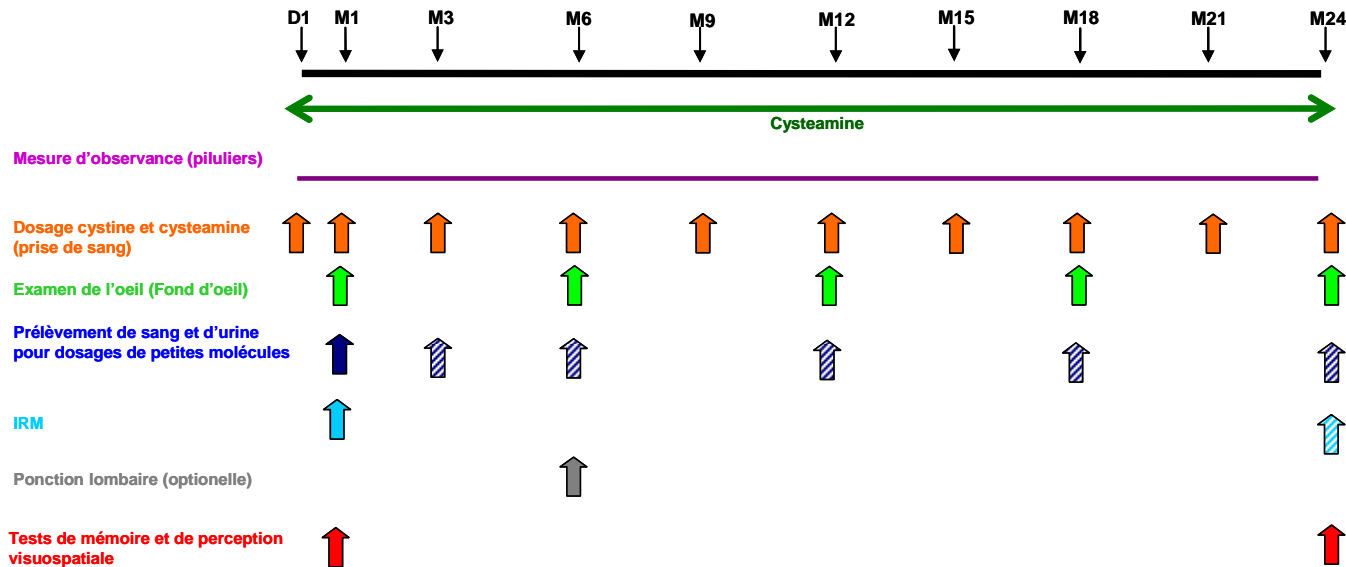
## Déroulement de l'étude

Au cours de l'étude **CrYSTObs**, votre traitement ne sera pas modifié, que vous soyez sous Cystagon® ou sous RP103 (études Raptor).

Sachez que cette étude a reçu un **avis favorable** du **comité de protection des personnes** de Lyon ainsi que l'**autorisation** de l'Agence Française de Sécurité Sanitaire des Produits de Santé (**AFSSaPS**) en septembre 2010.

L'étude **CrYSTObs** débutera en **début d'année 2011**. **Trente patients** atteints de cystinose néphropathique pourraient être recrutés au sein des quatre centres français. Des enfants et adultes de tous les pays européens peuvent participer à ce projet. La participation de chacun des patients à cette étude sera de **24 mois**.

Certaines visites coïncident avec les visites prévues dans les études Raptor (RP103-03 et RP103-04). D'autres visites correspondent au suivi de soins habituels de la cystinose. Les visites de l'étude sont décrites ci-dessous :



**N'hésitez pas à nous contacter pour toute information complémentaire (cf informations pratiques). Nous restons à votre disposition pour répondre à toutes vos questions.**

Pierre Cochat et l'équipe de l'étude CrYSTObs

**MERCI!**

## Informations pratiques

Si vous êtes intéressé pour participer à cette étude ou si vous souhaitez recevoir de plus amples informations, merci de contacter un des médecins impliqués dans le projet :

**Lyon :** Dr Aurélia Bertholet -Thomas  
04 27 85 61 04

**Montpellier:** Pr Denis Morin  
04 67 33 66 07

**Paris-Robert Debré:** Pr Georges Deschênes  
01 40 03 24 55

**Paris-Necker:** Pr Patrick Niaudet  
01 44 49 44 44

Vous pouvez également contacter le coordonnateur national de l'étude :

**Pr. Pierre Cochat**  
Centre de référence des maladies rénales rares  
Service de néphrologie pédiatrique  
Hôpital Femme Mère Enfant  
59 boulevard Pinel - 69677 Bron cedex  
Téléphone : 04 72 11 03 46

ou le centre de coordination de l'étude :

**Centre d'Investigation Clinique de Lyon**  
Ségolène Gaillard – Chef de Projet  
email : [segolene.gaillard@chu-lyon.fr](mailto:segolene.gaillard@chu-lyon.fr)  
Hanane Gheit – Attachée de Recherche Clinique  
email : [hanane.ghait@chu-lyon.fr](mailto:hanane.ghait@chu-lyon.fr)  
EPICIME / CIC - Groupement Hospitalier Est  
Bâtiment les Tilleuls - 59 Bd Pinel - 69677 Bron Cedex  
Téléphone : 04 72 35 75 51

