

Au-delà de l'illusion : les résultats de l'essai clinique sur la cystéamine

Les résultats de l'essai clinique de phase 2/3 ne se sont pas avérés concluants pour la cystéamine.

Par Melissa Christianson 2 janvier 2016 Edité par Dr Jeff Carroll

Traduit par Michelle Delabye & Dominique Czaplinski

Initialement publié le 18 décembre 2015

Au début du mois de décembre, la compagnie Raptor Pharmaceuticals a, dans le cadre de la maladie de Huntington, annoncé les résultats de l'essai clinique portant sur un médicament appelé cystéamine. Les gros titres dans les médias concernant cet essai sont excessifs et HDBuzz est donc là pour analyser ce que signifient réellement ces nouveaux résultats pour la communauté MH.

Essais cliniques et grenades ?

Bien que cela ne puisse pas être évident au premier abord, les essais cliniques et les grenades ont quelque chose en commun. Tout comme atteindre les graines savoureuses situées au cœur d'une grenade nécessite de disséquer soigneusement la peau et les membranes du fruit, atteindre le cœur des résultats d'un essai clinique nécessite de disséquer soigneusement leur couverture médiatique.



Tout comme atteindre le cœur d'une grenade nécessite de disséquer soigneusement la peau et les

membranes du fruit, atteindre le cœur des résultats d'un essai clinique nécessite de disséquer soigneusement leur couverture médiatique.

Crédits graphiques: [Freelimages](#)

Ces deux tâches peuvent être difficiles et plutôt ardues, mais ne vous inquiétez pas ! HDBuzz est là pour vous aider à passer au crible les gros titres médiatiques, à trouver les faits réels et à comprendre ce que signifient les résultats de cet essai clinique pour la communauté MH.

Nous avons déjà publié plusieurs guides généraux expliquant [ce que sont les essais cliniques](#) et [comment interpréter les nouveaux comptes-rendus s'y rapportant](#). Cependant, lorsque vous débutez la lecture d'un article relatif à un essai spécifique, la chose la plus importante à retenir en premier lieu est la raison pour laquelle cet essai a existé : **pour tester l'efficacité d'un médicament sur la maladie de Huntington.**

Dans le présent article, nous allons appliquer cette perspective puisque nous avons passé en revue les résultats communiqués par les médias concernant un essai clinique récemment achevé dans le cadre de la maladie de Huntington.

Un peu d'histoire

Les résultats que nous couvrons ici proviennent d'un essai clinique de phase 2/3 réalisé par la compagnie Raptor Pharmaceuticals. Cet essai a testé la cystéamine, un médicament ayant déjà franchi certains premiers obstacles du processus d'approbation des médicaments, en tant que traitement retardant les symptômes dans le cadre de la maladie de Huntington. HDBuzz a suivi cet essai depuis son début, et nous avons décrit ses bases dans un [précédent article](#).

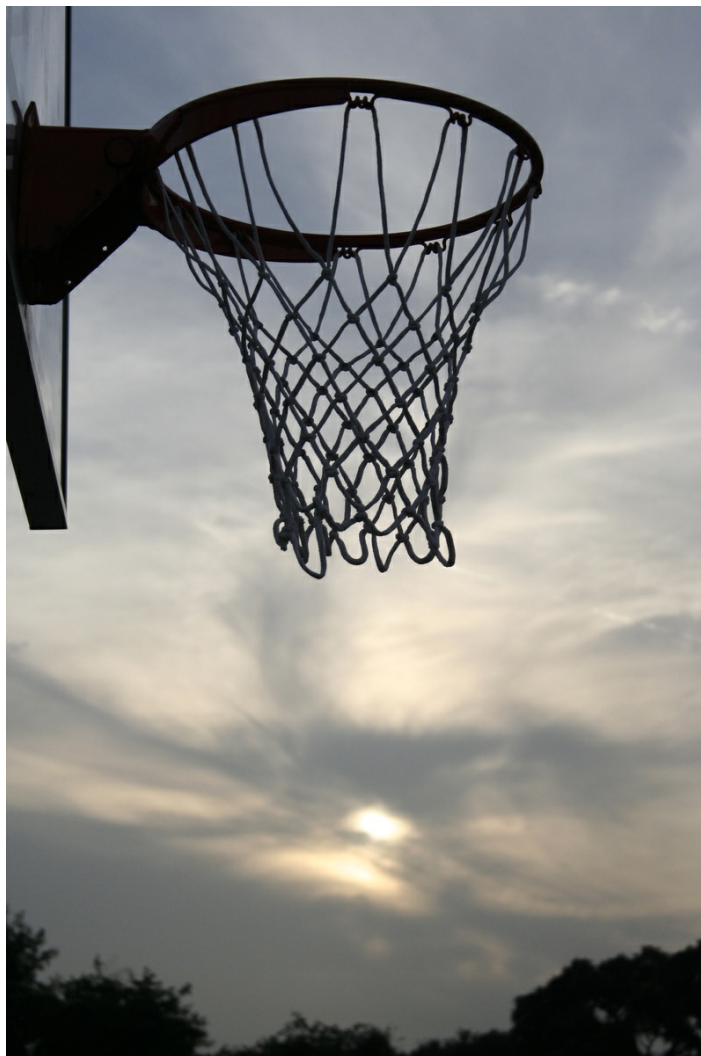
Nous savons, par des tests réalisés en laboratoire, que la cystéamine, également connue sous le nom de RP103, réalise de nombreuses bonnes choses pour le cerveau. Elle peut stopper les protéines collantes afin d'éviter l'encrassement du cerveau, entraîner la réparation des cellules du cerveau, augmenter les taux d'une substance chimique qui maintient les cellules en bonne santé, et enlever l'excès de métal toxique pour le cerveau. En théorie, quelques uns de ces effets (ou tous) pourraient contribuer à retarder les symptômes MH chez l'homme.

La compagnie Raptor a exécuté cet essai clinique particulier en deux parties, compte tenu de sa durée. Dans un premier temps, les participants ont reçu au hasard la cystéamine ou un placebo deux fois par jour. Dans un second temps, toutes les personnes ayant précédemment reçu le placebo ont pris la cystéamine (et les personnes prenant déjà de la cystéamine ont continué à en prendre). Une telle organisation permet de faire en sorte qu'aucun participant à l'étude ne manque les effets bénéfiques du médicament, s'ils existent.

Comme dans de nombreux essais cliniques, l'essai de Raptor a porté sur un tas de questions quant à savoir si et comment le médicament affecte les symptômes MH. La plus importante de ces questions concernant l'essai, que nous appelons son **critère d'évaluation principal** et qui sert de fondement pour évaluer le succès global de l'essai, était axée sur les symptômes moteurs. Plus précisément, le critère d'évaluation principal portait sur le fait de savoir si la prise de cystéamine

pourrait ralentir l'évolution des symptômes moteurs qui apparaissent généralement dans le cadre de la maladie de Huntington. L'essai a également déterminé si la cystéamine affectait d'autres choses, telles que la fonction globale, l'indépendance et l'innocuité.

Les résultats définitifs sont en deçà de l'objectif



Malheureusement, l'essai de la compagnie Raptor est loin d'avoir atteint son objectif de critère d'évaluation principal.

Crédits graphiques: [Freelimages](#)

L'essai CYST-HD est maintenant achevé, et ses résultats définitifs sont arrivés. Au début du mois de décembre, la compagnie Raptor a publié un communiqué avec un aperçu de ces résultats.

Pour tout essai clinique, les résultats les plus importants sont ceux liés au critère d'évaluation principal. Rappelez-vous, ce critère est déterminant afin que nous puissions considérer (ainsi que des organismes réglementaires, tels que la FDA, qui sont en fin de compte responsables de l'approbation d'un médicament pour un usage dans le cadre de la maladie de Huntington) si l'essai a été un succès ou un échec.

Malheureusement, l'essai CYST-HD est loin d'avoir atteint son objectif de critère d'évaluation

principal. Même si les symptômes moteurs chez les personnes ayant pris la cystéamine ont eu tendance à progresser plus lentement que ceux des personnes ayant pris le placebo, l'effet du médicament n'a pas été assez significatif ou assez cohérent pour être considéré comme *statistiquement significatif* (voir plus loin).

Par ailleurs, bien que les effets du médicament sur les symptômes moteurs soient devenus plus prononcés lorsque la compagnie Raptor a examiné un sous-ensemble spécifique de participants à l'essai, ceux-ci n'étaient encore pas statistiquement significatifs.

Néanmoins, ces tendances intéressantes, couplées avec certains autres tests de l'essai relatifs aux évaluations fonctionnelles et d'indépendance, impliquent que la cystéamine pourrait affecter subtilement la maladie de Huntington d'une manière non collectée par les analyses principales de l'essai.

Le fait d'être statistiquement significatifs est-il vraiment important ?

Pour donner un sens à ce que cet ensemble de résultats signifie pour la communauté MH, il est important de garder à l'esprit notre perspective évoquée au début de cet article : **nous réalisons des essais cliniques pour tester l'efficacité d'un médicament sur la maladie de Huntington.**

Nous tous - chercheurs, compagnies pharmaceutiques et plus spécialement la communauté de patients - nous voulons en réalité trouver des médicaments qui font une différence dans le cadre de la maladie de Huntington. Toutefois, ce désir peut parfois nous exposer à un risque de saisie de tendances qui ne sont pas réelles, ou plus dangereuses, en croyant à un médicament qui, en réalité, ne fonctionne pas.

Les statistiques sont utiles pour atténuer ces risques, nous indiquant si les résultats observés lors de l'essai clinique sont crédibles ou sont plutôt probablement dus au hasard.



Armée de nouvelles connaissances issues de l'essai CYST-HD, la compagnie Raptor estime avoir appris suffisamment lors de celui-ci pour en concevoir un nouveau ayant une plus grande chance de succès

Crédits graphiques: [Freelimages](#)

Lorsque nous indiquons que les résultats concernant le critère d'évaluation principal de l'essai Raptor ne sont pas "statistiquement significatifs", il s'agit là d'une grande déclaration. Cela signifie que, lors de l'étude, les effets du médicament auraient pu facilement être dus au hasard. Mathématiquement parlant, il n'y a pas de différences entre les effets de la cystéamine et ceux du placebo sur les symptômes MH. Par conséquent, même après cet essai de trois ans, **nous ne disposons pas encore de preuves confirmant que la cystéamine est efficace sur la maladie de Huntington.**

A partir de là, où allons-nous ?

Même si l'essai de Raptor n'a pas atteint son critère d'évaluation principal, nous pouvons néanmoins retenir deux informations potentiellement importantes et intéressantes.

Premièrement, l'essai nous donne des indices épars aux termes desquels la cystéamine pourrait subtilement retarder certains symptômes MH chez certaines personnes. Par conséquent, miser sur ces effets est théoriquement toujours possible, peut-être en examinant une population de patients légèrement différente ou en se posant différentes questions relatives à la manière dont le médicament affecte les symptômes MH. Deuxièmement, l'essai a confirmé que la cystéamine avait

un assez bon profil d'innocuité chez les patients atteints de la maladie de Huntington, ce qui signifie qu'elle ne provoque pas d'effets secondaires intolérables pour les personnes qui la prennent.

Armée de ces nouvelles connaissances, la compagnie Raptor estime avoir suffisamment appris lors de cet essai pour en concevoir un nouveau ayant une plus grande chance de succès (par exemple, un essai montrant que la cystéamine pourrait davantage ralentir l'évolution des symptômes qu'un placebo).

Nous ne pouvons pas prédire l'avenir, de sorte que nous ne savons donc pas si un essai de ce type sera planifié. Toutefois, l'histoire nous révèle que la route vers la cystéamine sera ardue. D'autres médicaments MH candidats, tels que la créatine et le CoQ10, pour lesquels des essais cliniques clés ont échoués, n'ont pas obtenu de bons résultats lors de divers essais cliniques ultérieurs. Nous tempérons donc notre enthousiasme avec une dose mesurée de prudence s'agissant d'un nouvel essai sur la cystéamine.

En conclusion

Bien entendu, nous sommes déçus par le fait que les résultats de l'essai CYST-HD ne soient pas plus positifs mais il est important de rappeler que tous les essais cliniques MH, même ceux qui échouent, nous apportent des connaissances et de l'expérience pour réaliser de meilleurs essais dans l'avenir. Au-delà de la médiatisation, comprendre ce que signifient réellement les résultats d'un essai clinique nous aidera à passer des faux départs à un traitement MH efficace.

Les auteurs ne déclarent aucun conflit d'intérêt [Pour plus d'informations sur notre politique d'information voir notre FAQ ...](#)

GLOSSAIRE

Statistiquement significatif Peu probable d'être dû au hasard, selon un test statistique.

Essai clinique Expériences très soigneusement planifiées, conçues pour répondre à des questions spécifiques sur la façon dont un médicament affecte les êtres humains.

efficacité Une mesure pour savoir si un traitement fonctionne ou pas

Placebo Un placebo est un médicament factice ne contenant pas d'ingrédients actifs. L'effet placebo est un effet psychologique poussant les gens à se sentir mieux, même s'ils prennent une pilule qui ne fonctionne pas.

© HDBuzz 2011-2018. Le contenu de HDBuzz est libre d'être partagé, sous la licence Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz n'est pas une source de conseils médicaux. Pour plus d'informations, visitez le site web [site_address hdbuzz.net](http://site_address_hdbuzz.net)

Cré le 20 juillet 2018 — Téléchargé à partir de <https://fr.hdbuzz.net/209>

Certains textes sur cette page n'ont pas encore été traduits. Ils sont affichés ci-dessous dans leurs langues originales.
Nous travaillons pour traduire tout le contenu dès que possible.