

L'ocytocine pourrait aider les enfants touchés par le syndrome de Prader-Willi

Les symptômes de cette maladie génétique rare sont atténués grâce à la prise d'ocytocine, ont montré des études. La molécule franchira-t-elle le cap des essais cliniques ?

LE MONDE | 03.09.2018 à 17h39 • Mis à jour le 03.09.2018 à 17h50 | Par Pascale Santi ([journaliste/pascale-santi/](#))

Nour a été la première adolescente – elle aura 15 ans à la fin de l'année – à être incluse dans un essai clinique sur l'ocytocine conduit par l'équipe de la professeure Maïthé Tauber, pédiatre endocrinologue au Centre de référence du syndrome de Prader-Willi (CHU de Toulouse). Cette jeune fille a été diagnostiquée à l'âge de 1 an. Cette maladie génétique rare – un cas sur 25 000 naissances – se caractérise par des troubles neuro-développementaux avec des déficits hormonaux, dont un retard de croissance. La période néonatale et les deux premières années de vie sont marquées par une hypotonie majeure.

Les nourrissons ont une difficulté sévère à se nourrir, puis le comportement alimentaire s'inverse vers 2 à 3 ans, avec une pensée permanente pour la nourriture, qui se traduit par de l'hyperphagie, avec un risque d'obésité parfois associé à des troubles psychiatriques et des difficultés d'apprentissage, note Maïthé Tauber.

Réduction des troubles

Connue pour favoriser les relations sociales, l'ocytocine est prometteuse pour réduire des manifestations de certains troubles autistiques ou liés à d'autres maladies, comme le syndrome de Prader-Willi. Nour a ainsi commencé à prendre le traitement par spray nasal pendant trois mois (sans savoir si c'était l'ocytocine ou le placebo) fin 2016, puis elle a reçu l'ocytocine, comme tous les participants, durant les trois mois suivants.

Lire aussi : [L'ocytocine, déroutante « hormone de l'amour »](#) ([/sciences/article/2018/09/03/l-ocytocine-deroutante-hormone-de-l-amour_5349694_1650684.html](#))

A l'époque, Nour avait des troubles du comportement alimentaire, était inhibée, gérait mal les frustrations, faisait des colères... autant de symptômes de cette maladie. « *Nour était en difficulté* », décrit sa mère, pédiatre. Sa fille est suivie à Toulouse même si elles habitent à 600 km, à Auxerre. Dès les premières prises, elle a senti un dé clic. « *Je me sens bien dans ma peau, j'arrive à aller vers les autres* », disait la jeune fille. « *C'est la première fois de ma vie que j'ai une copine* », avait même dit Nour, en février, lors de vacances au ski dans un club. Elle gérait alors mieux ses frustrations, était moins angoissée, n'était plus obsédée par l'alimentation, se sentait « normale », une impression inédite.

Trois mois après l'arrêt du traitement, en mai 2017, « *les problèmes sont revenus progressivement, notamment les difficultés sociales, les crises d'angoisse, l'obsession de l'alimentation...* », constate sa mère. Ce qui n'a pas empêché Nour d'obtenir son brevet en juin, mention « bien ». Selon elle, « *elle va mieux qu'avant* », sans savoir avec certitude si cela est dû à l'ocytocine. Toutes deux attendent avec impatience la fin de l'étude, qui porte sur 40 enfants touchés par le syndrome de Prader-Willi, la moitié de 3 à 6 ans, la moitié de 7 à 12 ans, afin de savoir si ce médicament peut être pris sans effets secondaires, ce qui pourrait déboucher sur une autorisation de mise sur le marché.

Maladie hormonale

Quand elle a vu des enfants touchés par cette maladie, Maïthé Tauber « *ne pouvait pas imaginer que ce ne soit pas une maladie hormonale* ». Elle a commencé à s'intéresser à l'ocytocine en 2000. La première étude sur ses effets sur le syndrome de Prader-Willi date de 2007, démontrant une anomalie des réseaux ocytocinergiques chez les patients. Une autre étude a été conduite au CHU de Toulouse sur 18 bébés atteints, âgés de 3 semaines à 6 mois, avec des doses liquides administrées dans le nez. « *L'ocytocine permettait de retrouver une tétée normale, et le bébé était plus prosocial, avec un regard plus soutenu, ce qui améliorait l'interaction avec la maman* », décrit Maïthé Tauber, qui a publié cette étude dans *Pediatrics* en février 2017

(<http://pediatrics.aappublications.org/content/pediatrics/early/2017/01/16/peds.2016-2976.full.pdf>) . Les résultats n'ont montré aucun effet indésirable. Son équipe a aussi observé que les bébés ayant eu un traitement très tôt

après la naissance interagissaient beaucoup plus avec leur mère et avec d'autres personnes vers 2 ans et demi, 3 ans.

La molécule franchira-t-elle le cap des essais cliniques ? Pour répondre à l'attente de Nour, les résultats de l'étude devraient être connus à la fin de l'année. Maïthé Tauber y croit. Début 2017, elle a été à l'origine, avec des membres de l'association Prader-Willi France, de la start-up OT4B, dont l'objectif est de **mettre** à disposition des personnes atteintes de cette pathologie ce médicament d'ici à 2020.

Elle travaille déjà sur une nouvelle étude clinique sur les nourrissons financée par le ministère de la santé et des crédits européens. « *On a encore besoin de 3 millions d'euros* », dit-elle. « *La grande industrie pharmaceutique ne semble pas être intéressée par ce marché car c'est un ancien médicament et son utilisation est temporaire et cible en priorité les nourrissons et les enfants* », explique Maïthé Tauber.