

Madame,

En réponse à votre courrier, l'Agence Européenne des Médicaments EMA a bien commencé l'analyse des données de qualité, efficacité et sécurité du principe actif Diazoxide choline pour PWS.

L'évaluation a débuté en mai 2025, des questions ont été envoyées au demandeur de l'AMM, les réponses furent reçues le 29 décembre 2025.

A ce stade, la procédure suit son cours. Au total, elle doit durer 210 jours à compter du 22 mai 2025, auxquels il faut ajouter le temps nécessaire au laboratoire pharmaceutique pour répondre aux questions (Solenio Therapeutics, Inc ou un partenaire de co-commercialisation). Nous sommes donc dans les délais habituels.

Notez que la date à laquelle la société pharmaceutique décide de soumettre une demande d'autorisation de mise sur le marché auprès de l'EMA est de sa seule responsabilité. Il est dommage qu'elle n'ait pas lancé la demande simultanément aux USA et auprès de l'Union Européenne.

Comme toujours, l'évaluation concernera l'analyse des résultats d'essais cliniques et leur effet moyen sur la population traitée, comparativement à un groupe non traité dans un bras contrôlé. Cela sera possible à partir des résultats de l'essai « *An Open-Label, Long-Term Safety and Efficacy Evaluation of Diazoxide Choline Extended-Release Tablets in Participants With Prader-Willi Syndrome With a Double-Blind, Placebo-Controlled, Randomized Withdrawal Period NCT03714373* » avec 115 participants et mesurant principalement les comportements liés à l'hyperphagie évalués à l'aide du questionnaire sur l'hyperphagie destiné aux essais cliniques (HQ-CT).

Il est possible que le comité scientifique de l'EMA s'adresse à des représentants de malades et de médecins pour les aider dans cette évaluation, conformément aux pratiques de l'agence.

Avez-vous ou votre association pris contact avec l'industriel et/ou l'ANSM au sujet d'un accès dérogatoire à ce produit ?

Il existe une autorisation dérogatoire pour diazoxide (<https://ansm.sante.fr/tableau-acces-derogatoire/proglycem>) en traitement de l'hyperinsulinisme, par Teva pharm. Là aussi, il eût été judicieux d'interroger Solenio Therapeutics ou ses éventuels partenaires en Europe quant à un accès compassionnel à ce produit.

N'hésitez pas à nous recontacter,

Cordialement,

François Houyez
Director of Treatment
Information and Access
Eurordis