

Des associations de défense des personnes atteintes du syndrome de Prader-Willi publient des recommandations de sécurité concernant un traitement autorisé

Ce communiqué aborde les risques potentiels liés à l'utilisation du Vykate XR dans le traitement d'hyperphagie.

Traduction DeepL (version gratuite)

https://praderwillinews.com/news/pws-advocacy-groups-offer-safety-guidance-approved-treatment/?mc_euid=49a4764e1e&utm_source=PWS&utm_campaign=6141e4a336-Email_ENL_NON-US_PWS&utm_medium=email&utm_term=0_9979854db0-6141e4a336-73419849

Écrit par by [Marisa Horak, MS](#) | Aug. 13, 2026 Publié sur le site de Praderwillinews.com

Trois associations de défense des droits des patients se sont unies pour aider les familles à comprendre les risques liés à la sécurité du Vykate XR (diazoxide de choline), un traitement oral autorisé pour soulager l'hyperphagie, ou faim excessive, chez les personnes atteintes du syndrome de Prader-Willi (SPW).

À la lumière des nouvelles données de sécurité rapportées depuis la mise sur le marché de Vykate XR, ces trois associations — la Prader-Willi Syndrome Association USA (PWSA | USA), la Foundation for Prader-Willi Research (FPWR) et l'International Prader-Willi Syndrome Organisation — ont publié conjointement une déclaration proposant des conseils sur l'utilisation de ce médicament à l'intention des aidants des personnes atteintes du SPW.

« VYKAT XR représente une avancée importante dans le traitement de l'hyperphagie », a écrit Stacy Ward, PDG de PWSA | USA, dans un article publié sur le blog de l'association. « Notre objectif est de veiller à ce que les familles et les cliniciens disposent des ressources nécessaires pour utiliser cet outil de manière réfléchie, sûre et efficace, en plaçant toujours la personne atteinte du SPW au centre de chaque décision. »

Dans un autre article de blog, la FPWR a indiqué que cette déclaration visait « à aider les professionnels de santé et les familles à prendre des décisions thérapeutiques éclairées, à détecter précocement les éventuels problèmes médicaux et à promouvoir une utilisation sûre de VYKAT XR grâce à une surveillance appropriée **et à une communication continue entre les familles et leur équipe soignante** ».

Décès et complications médicales signalés depuis l'autorisation de mise sur le marché de Vykate XR

Le syndrome de Prader-Willi (PWS) est une maladie génétique se caractérisant par divers symptômes liés au développement et au comportement, notamment une hyperphagie qui conduit généralement à l'obésité.

Vykate XR est un médicament oral qui agit en modulant l'activité des canaux potassiques sensibles à l'ATP (KATP), des protéines qui contribuent à contrôler la libération de certaines

molécules de signalisation par les cellules cérébrales. En modifiant l'activité des canaux KATP, ce traitement devrait réduire la quantité de molécules de signalisation stimulant la faim, considérées comme contribuant à l'hyperphagie.

Des essais cliniques ont montré que Vykat XR peut contribuer à atténuer l'hyperphagie chez les personnes atteintes du syndrome de Prader-Willi. Cependant, comme tout médicament, Vykat XR peut entraîner des effets indésirables. Les canaux KATP sont également présents dans d'autres cellules de l'organisme, notamment dans le cœur, le pancréas et les muscles ; leur activation peut donc entraîner des effets indésirables.

Lors des essais cliniques, les effets indésirables les plus fréquemment rapportés avec Vykat XR étaient des éruptions cutanées, une pilosité excessive, une hyperglycémie et des œdèmes. Aucun décès n'a été signalé.

=====

Sur la base de ces rapports seuls, il n'est pas possible d'affirmer avec certitude si ces décès étaient liés à l'utilisation du médicament ou s'inscrivaient dans le cadre des problèmes de santé associés au syndrome de Prader-Willi.

Cependant, depuis l'autorisation de mise sur le marché de ce traitement aux États-Unis en 2025 pour réduire l'hyperphagie chez les adultes et les enfants atteints du syndrome de Prader-Willi (SPW), âgés de 4 ans et plus, sept décès ont été signalés chez des patients prenant ce médicament. Plus d'une centaine de cas de complications graves ont également été signalés.

La quasi-totalité de ces événements était liée à des difficultés respiratoires et/ou à des problèmes cardiaques. Il convient de noter que la plupart des patients concernés présentaient des pathologies sous-jacentes complexes et prenaient d'autres médicaments en plus du Vykat XR.

Cette nouvelle déclaration vise à replacer ces signalements dans leur contexte afin que les soignants puissent pleinement comprendre les risques potentiels. Les associations soulignent que, ces patients présentant des pathologies sous-jacentes complexes et le SPW lui-même étant associé à un risque accru de mortalité, il n'est pas certain que l'un de ces événements ait été directement causé par le Vykat XR.

« Sur la base de ces rapports seuls, il n'est pas possible d'affirmer avec certitude si ces décès étaient liés à l'utilisation du médicament ou s'inscrivaient dans le cadre des problèmes de santé associés au SPW », indique la déclaration.

La déclaration préconise une sélection rigoureuse des patients et une surveillance étroite

La déclaration souligne également que les essais cliniques portant sur le Vykat XR ont nécessairement été menés à petite échelle, le syndrome de Prader-Willi étant une maladie

rare. De plus, pour des raisons éthiques, les essais portant sur des médicaments expérimentaux n'incluent généralement pas de participants présentant de nombreux problèmes de santé sous-jacents.

« Par conséquent, lorsqu'un nouveau médicament est approuvé, les médecins peuvent ne pas savoir exactement à quoi s'attendre chez les patients présentant davantage de problèmes médicaux et d'autres complications », indique la déclaration. « C'est pourquoi les médecins doivent faire preuve de prudence lorsqu'ils utilisent de nouveaux médicaments chez des patients présentant des problèmes médicaux plus complexes. »

Les associations ont souligné que « l'objectif de cette nouvelle déclaration n'est pas de décourager l'utilisation du VYKAT XR », mais, comme l'indique Mme Ward dans sa déclaration, « d'encourager une prescription éclairée, une sélection rigoureuse des patients et une surveillance étroite, en particulier chez les personnes présentant des facteurs de risque connus ».

Ces facteurs comprennent :

- l'obésité sévère
- des antécédents ou des problèmes cardiaques ou respiratoires actuels
- des antécédents d'infections pulmonaires graves
- un œdème ou une accumulation de liquide dans l'organisme,
- une apnée du sommeil non contrôlée (une affection caractérisée par des interruptions répétées de la respiration pendant le sommeil).

La déclaration conseille aux soignants de se mettre en relation avec un médecin qui connaît bien le syndrome de Prader-Willi et qui pourra les aider à comprendre, au cas par cas, les risques potentiels liés à leur situation spécifique. Les soignants sont également encouragés à lire les recommandations récemment publiées concernant l'utilisation de Vykat XR dans le syndrome de Prader-Willi.

Parallèlement à la déclaration destinée aux aidants, rédigée dans un langage accessible au grand public, les associations de défense des droits ont également publié une déclaration plus technique à l'intention des professionnels de santé, ainsi qu'une nouvelle version de la FAQ destinée aux parents.

« Nous encourageons les familles, les professionnels de santé, les établissements d'hébergement et les équipes soignantes à consulter et à partager ces deux ressources », a écrit M. Ward. « Une meilleure information permet d'avoir de meilleures discussions, de prendre de meilleures décisions et, au final, d'offrir de meilleurs soins aux personnes atteintes du syndrome de Prader-Willi. »