

Etude de tolérance d'administrations intranasales répétées d'ocytocine selon 3 schémas d'administration chez des bébés présentant un SPW (OTBB2)

Investigateur coordonnateur : Pr Maïthé Tauber, Centre de référence du syndrome de Prader-Willi, CHU de Toulouse

Objectif principal: étudier la tolérance d'administrations intranasales répétées d'ocytocine (OT) chez des nourrissons présentant un SPW âgés de moins de 5 mois.

Objectifs secondaires :

- réaliser une étude préliminaire d'efficacité sur:
 - la succion/déglutition et la prise alimentaire
 - les interactions mère-enfant
 - l'évolution staturopondérale
- réaliser une étude physiopathologique de l'effet de l'OT sur:
 - le métabolisme cérébral (IRM)
 - les taux de ghreline et de certains peptides impliqués dans la régulation de l'appétit

Administrations intra-nasales répétées d'OT pendant 7 jours selon 3 schémas:

- Palier 1 : 4 UI tous les 2 jours en une prise (soit 4 administrations)
- Palier 2 : 4 UI tous les jours en une prise (soit 7 administrations)
- Palier 3 : 4 UI 2 fois/jour (soit 14 administrations).

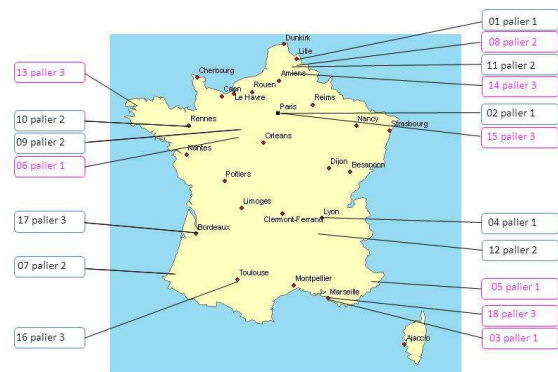
Inclusion de 18 bébés:

- palier 1 : 6 bébés de Mai à Juillet 2013
- palier 2 : 6 bébés de Septembre à Décembre 2013
- palier 3 : 6 bébés de Mai à Juin 2014

Hospitalisation de 10 jours au CHU de Toulouse.

Prise en charge multidisciplinaire: pédiatres, pédopsychiatre, diététicienne, infirmières

Forte implication du personnel soignant et des parents



Résultats :

- Tolérance: aucune anomalie n'a été détectée sur les paramètres surveillés (tension artérielle, fréquence cardiaque, ECG, paramètres biologiques); 1 bébé a présenté 1 Evènement Indésirable Grave dont la cause n'est pas imputable à l'OT et suivi d'une guérison sans séquelles.
- Cette étude de tolérance/preuve de concept, nous a permis de mettre en évidence des effets positifs sur les troubles de la succion-déglutition, l'engagement social incluant les interactions mère-enfant. L'analyse des IRM cérébrales est encore en cours. Une étude de phase III (placebo) doit être faite pour démontrer formellement que ces effets sont dus à l'ocytocine .

Conclusions: L'ocytocine a été très bien tolérée chez tous les bébés traités et nous avons obtenu des résultats très positifs.

La prochaine étape sera la réalisation d'un essai clinique de phase III pour démontrer l'efficacité de l'ocytocine.

Nous poursuivons les démarches, l'objectif étant de pouvoir proposer le plus rapidement possible ce traitement à tous les nouveau-nés dès l'annonce du diagnostic du syndrome.