

JUSTIFICATIF

Dénomination Commune Internationale :

BETAINE ANHYDRE

Nom commercial :

CYSTADANE®
MEDICAMENT ORPHELIN

OMEDIT IDF 2016

Version : 3

Création : Janvier 2012
Révision : Février 2016

Cystadane® fait l'objet d'un Plan de Gestion des Risques (PGR) **MEDICAMENT NON PRIS EN CHARGE EN SUS DES GHS**

Historique des MAJ:

Juin 2012/ mise en forme (liens, RCP.....)

Juillet 2014/ révision des documents

Février 2016/ EMA EPAR : risque majoré d'œdème cérébral chez les patients présentant un **déficit en cystathionine bêta-synthétase (CBS)**.

Cotation adaptée de Sackett et al (ANAES)

•Grade A : preuve scientifiquement établie (étude de fort niveau de preuve notamment essais comparatifs randomisés de forte puissance et sans biais majeur, méta-analyse d'essais contrôlés randomisés, analyse de décision basée sur des études bien menées) ;

•Grade B : présomption scientifique (études de niveau de preuves intermédiaire notamment essais comparatifs randomisés de faible puissance, études comparatives non randomisées bien menées, étude de cohorte) ;

•Grade C : faible niveau de preuve (études de moindre niveau de preuve : cas témoin, séries de cas, consensus d'experts)

INDICATION AMM

[http://www.emea.europa.eu/docs/fr_FR/document_library/EPAR - Product_Information/human/000678/WC500037404.pdf](http://www.emea.europa.eu/docs/fr_FR/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/000678/WC500037404.pdf)

Traitement adjuvant de l'homocystinurie, avec déficiences ou anomalies au niveau de :

- la cystathionine bêta-synthase (CBS),
- la 5,10-méthylène tétrahydrofolate réductase (MTHFR),
- la cobalamine, cofacteur du métabolisme (cbl). (C)

AMM européenne

■ 15/02/2007

Cystadane® doit être utilisé en complément d'autres traitements (vitamine B6 (pyridoxine), vitamine B12 (cobalamine), acide folique...) et d'un régime spécifique

Avis de la transparence

■ 24/10/2007

http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/ct-5071_cystadane.pdf

SMR important. Cystadane® entre dans le cadre d'un traitement à visée symptomatique. Le rapport efficacité/effets indésirables est important. Il s'agit d'un médicament à utiliser en association à une vitaminothérapie et à un régime spécifique. **Il n'existe pas d'alternative thérapeutique**

ASMR modérée (III) en association à une vitaminothérapie et à un régime spécifique, compte tenu du faible niveau de preuve des données présentées, de l'impossibilité de quantifier le bénéfice réel apporté par Cystadane®, mais de son intérêt dans la prise en charge de l'homocystinurie.

Le dossier repose sur des données issues d'une revue bibliographique, relatives à l'état biochimique et/ou clinique obtenues chez 140 patients, avant et après administration de Cystadane®. La plupart de ces patients recevait d'autres traitements comme la vitamine B6, la vitamine B12 et de l'acide folique. L'ajout de Cystadane® a entraîné une réduction de la concentration plasmatique en homocystéine. En raison des traitements multiples coadministrés, une surestimation des effets du traitement par Cystadane® est possible. Les données d'efficacité sont issues d'études de cas. **Le niveau de preuve des résultats reste par conséquent peu élevé et les seules conclusions possibles sont de nature exploratoire.**

Pertinence scientifique : Saudubray JM 2002 ; Yap S 2005 ; Orphanet.

Références

Saudubray JM. Homocystinurie. Encyclopédie Orphanet. Mai 2002

[Orphanet/Cystadane](#)

Yap, S. Homocystinuria due to cystathionine β -synthase deficiency. Orphanet encyclopedia, February 2005