

Chers confrères,

Vous prenez en charge des patients enfants ou adultes atteints de cystinose et traités par la forme à libération immédiate de cystéamine, le Cystagon®.

Vous pouvez être amené à prescrire à certains d'entre eux, la forme à libération prolongée, le Procysbi®. Aussi, en complément des informations contenues dans le RCP du Procysbi®, nous pouvons vous conseiller de :

- Pour les patients déjà traités par Cystagon®, débiter le Procysbi® à 70-75%¹ de la dose journalière du Cystagon® afin de prévenir d'éventuels effets secondaires (en particulier digestifs) qui conduirait à des arrêts de traitement ou une mauvaise adhérence. Cette dose est à répartir en deux prises quotidiennes espacées de 12 heures d'intervalle.

Le contrôle de l'hémicystine intra-leucocytaire à 2 à 3 semaines et l'évaluation de la tolérance du Procysbi® vous permettront d'ajuster la posologie selon les recommandations (cystine intra-leucocytaire inférieure à 1 nmol d'hémicystine/mg de protéine)^{2,3}. La dose optimale de Procysbi® se situe classiquement autour de 80% de la dose de Cystagon®⁴.

Nous vous recommandons de faire un nouveau dosage à 3 et 6 mois.

- Pouvoir doser l'hémicystine intra-leucocytaire 12h après la dernière prise plutôt que 30 minutes après la prise si la réalisation de ce temps à 30 min est difficile à mettre en place dans vos unités. Les variations de l'hémicystine intraleucocytaire entre 12h et 12h30 après la dernière prise ne sont pas cliniquement pertinentes alors que des variations entre 12h30 et 13h ou plus peuvent conduire une sous-estimation des taux de l'hémicystine et donc des doses nécessaires de Procysbi®².
- Privilégier le citrate à la place du bicarbonate de potassium ou de sodium pour les prises du matin et du soir afin de respecter les conditions de pH gastrique acide nécessaire à une bonne biodisponibilité du Procysbi®.

Nous vous proposons de remplir une fiche de renseignements cliniques pour chacun de vos patients afin d'évaluer les conditions et les conséquences de ce switch.

References:

- 1- Ahlenstiel-Grunow T, Kanzelmeyer NK, Froede K, Kreuzer M, Drube J, Lerch C, Pape L. Switching from immediate- to extended-release cysteamine in nephropathic cystinosis patients: a retrospective real-life single-center study. *Pediatr Nephrol.* 2017 Jan;32(1):91-9
- 2- Langman CB, Greenbaum LA, Sarwal M, Grimm P, Niaudet P, Deschênes G, Cornelissen E, Morin D, Cochat P, Matossian D, Gaillard S, Bagger MJ, Rioux P. **A randomized controlled crossover trial with delayed-release cysteamine bitartrate in nephropathic cystinosis: effectiveness on white blood cell cystine levels and comparison of safety.** *Clin J Am Soc Nephrol.* 2012 Jul;7(7):1112-20
- 3- Langman CB, Greenbaum LA, Grimm P, Sarwal M, Niaudet P, Deschenes G, Cornelissen EA, Morin D, Cochat P, Elenberg E, Hanna C1, Gaillard S, Bagger MJ, Rioux P. **Quality of life is improved and kidney function preserved in patients with nephropathic cystinosis treated for 2 years with delayed-release cysteamine bitartrate.** *J Pediatr.* 2014 Sep;165(3):528-33.e1
- 4- Emma F, Nesterova G, Langman C, Labbé A, Cherqui S, Goodyer P, Janssen MC, Greco M, Topaloglu R, Elenberg E, Dohil R, Trauner D, Antignac C, Cochat P, Kaskel F, Servais A, Wühl E, Niaudet P, Van't Hoff W, Gahl W, Levtchenko E. **Nephropathic cystinosis: an international consensus document.** *Nephrol Dial Transplant.* 2014 Sep;29 Suppl 4:iv87-94.