

Communication AFSR

Avis de l'EMA concernant Daybu (trofinetide)

28 février 2026

L'Agence européenne des médicaments (EMA), via son comité d'évaluation (CHMP), a rendu le 26 février 2026 un avis recommandant le refus de l'autorisation de mise sur le marché pour Daybu (trofinetide), médicament évalué dans le syndrome de Rett.

Ce que cela signifie concrètement

- Daybu n'est pas autorisé en Europe à ce stade sur la base de l'avis du CHMP.
- Le laboratoire peut demander une ré-évaluation (re-examination) de l'avis selon la procédure EMA.
- Cette décision concerne l'autorisation de mise sur le marché au niveau européen, et n'arrête pas la recherche.

Position de l'AFSR

L'AFSR accueille cette nouvelle avec déception pour les familles, tout en rappelant qu'un avis négatif ne met pas fin aux démarches possibles. Nous restons mobilisés pour suivre la suite de la procédure et porter la voix des familles sur les besoins médicaux non couverts.

Repères importants pour les familles

- Ne modifiez pas un traitement sans avis médical.
- Les accès compassionnels (selon les procédures nationales) qui ont été mis en place ne sont pas concernés par cet avis de l'EMA. Il est important de se rapprocher de l'équipe médicale qui a effectué la prescription pour de plus amples informations.
- Pour toute question individuelle, rapprochez-vous de votre équipe soignante (centre expert / neuropédiatre).

Prochaines étapes

- Nous publierons une mise à jour dès que l'EMA communiquera sur la suite (demande de ré-examen, calendrier, nouveaux éléments).
- L'AFSR reste disponible pour recueillir vos questions et les intégrer à nos échanges avec les parties prenantes.