

Autorisation d'accès compassionnel
Notice destinée au patient : informations pour le patient et l'aidant Daybue
200 mg/mL, solution buvable
trofinétide

Votre médecin vous a proposé un traitement par Daybue dans le cadre d'une autorisation d'accès compassionnel (AAC), demandez des précisions à votre médecin ou reportez-vous à cette notice.

Veillez lire attentivement cette notice avant de prendre ce médicament car elle contient des informations importantes pour vous.

- Veuillez garder cette notice. Vous pourriez avoir besoin de la relire.
- Adressez-vous à votre médecin ou à votre pharmacien pour toute question supplémentaire.
- Ce médicament a été prescrit pour vous ou votre enfant. Ne le donnez jamais à une autre personne. Il peut lui être nocif, même si ses symptômes sont identiques aux vôtres.
- Si vous ou votre enfant ressentez un quelconque effet indésirable, parlez-en à votre médecin ou à votre pharmacien. Cela s'applique également à tout effet indésirable non mentionné dans cette notice. Voir la section 4.

Que contient cette notice

1. Qu'est-ce que Daybue et dans quels cas est-il utilisé
2. Quelles sont les informations à connaître avant de prendre Daybue
3. Comment prendre Daybue
4. Effets indésirables possibles
5. Comment conserver Daybue
6. Contenu de l'emballage et autres informations

1. Qu'est-ce que Daybue et dans quels cas est-il utilisé

Daybue contient la substance active, trofinétide. Il est utilisé dans le syndrome de Rett, génétiquement confirmé, chez les adultes et les enfants âgés de 5 ans et plus.

Le syndrome de Rett est une maladie rare qui affecte le développement du cerveau, causée par des mutations génétiques, entraînant un handicap mental et physique sévère. Bien que le mode d'action de la substance active contenue dans Daybue, le trofinétide, chez les personnes atteintes du syndrome de Rett ne soit pas entièrement compris, on pense qu'elle aide les cellules cérébrales à envoyer et recevoir les signaux plus efficacement. Cela peut contribuer à améliorer les symptômes du syndrome de Rett, notamment la respiration, les mouvements anormaux des mains, les comportements répétitifs, les troubles du sommeil, les vocalisations telles que les cris, les rires, les pleurs, les gémissements ou les sons répétitifs, les expressions faciales, le regard, l'humeur et la communication.

2. Quelles sont les informations à connaître avant de prendre Daybue

prenez pas Daybue

- si vous ou votre enfant êtes allergique au trofinétide ou à l'un des autres composants de ce médicament (mentionnés dans la rubrique 6).

Mises en garde et précautions

Adressez-vous à votre médecin ou votre pharmacien avant de prendre Daybue.

Avant de commencer le traitement avec Daybue, vous ou votre enfant devez arrêter de prendre des laxatifs.

Pendant la prise de ce médicament, vous devez consulter votre médecin si :

- **vous ou votre enfant avez de la diarrhée.** La diarrhée est très fréquente chez les personnes prenant Daybue (voir section 4. Effets indésirables possibles) et il est important de la traiter rapidement. La diarrhée peut parfois être sévère et entraîner une déshydratation (état qui survient lorsque le corps perd trop d'eau et d'autres liquides nécessaires à son fonctionnement normal). Votre médecin ou celui de votre enfant peut recommander de boire davantage de liquides ou de prendre un médicament antidiarrhéique si nécessaire. Si vous ou votre enfant souffrez d'une diarrhée sévère ou êtes déshydratés, votre médecin peut réduire la dose de Daybue ou interrompre le traitement temporairement ou définitivement.
- **vous ou votre enfant avez des vomissements sévères ou si les vomissements surviennent fréquemment.** Les vomissements sont un effet indésirable très fréquent chez les personnes prenant Daybue (voir section 4. Effets indésirables possibles). Il est important de traiter les vomissements rapidement. Parfois, le vomi peut pénétrer dans les poumons (aspiration), ce qui pourrait provoquer une infection (pneumonie par aspiration). Si vous ou votre enfant avez des vomissements sévères ou si les vomissements persistent malgré la prise d'un traitement contre ceux-ci, votre médecin peut réduire la dose de Daybue ou interrompre le traitement temporairement ou définitivement.
- **vous ou votre enfant perdez du poids.** Votre médecin peut vous demander de surveiller votre poids ou celui de votre enfant. Le médecin peut réduire la dose ou interrompre le traitement temporairement ou définitivement si vous ou votre enfant avez perdu trop de poids.

Enfants

Ne donnez pas ce médicament aux enfants de moins de 5 ans.

Autres médicaments et Daybue

Avant de commencer le traitement, informez votre médecin ou votre pharmacien si vous prenez, avec récemment pris ou pourriez prendre tout autre médicament.

Grossesse, allaitement et fertilité

Si vous êtes enceinte ou que vous allaitez, si vous pensez être enceinte ou planifiez une grossesse, demandez conseil à votre médecin avant de prendre ce médicament.

Si vous êtes une femme susceptible de devenir enceinte, utilisez une méthode de contraception fiable pendant la prise de ce médicament.

Si vous débutez une grossesse pendant que vous prenez Daybue, consultez immédiatement. Vous ne devez pas prendre ce médicament si vous êtes enceinte ou si vous pourriez le devenir sans utiliser une contraception efficace.

On ne sait pas si ce médicament passe dans le lait maternel. Il pourrait y avoir un risque pour votre bébé si vous allaitez pendant que vous prenez ce médicament.

Conduite de véhicules et utilisation de machines

Daybue ne devrait pas affecter votre capacité à conduire ou à utiliser des machines. Les personnes atteintes du syndrome de Rett ne conduisent généralement pas et n'utilisent pas de machines en raison de l'impact de la maladie sur les capacités motrices et cognitives.

Daybue contient du maltitol

Si votre médecin vous a dit que vous ou votre enfant aviez une intolérance à certains sucres, contactez- le avant de prendre ce médicament.

Daybue contient du propylène glycol

Ce médicament contient 4,9 mg of propylène glycol par mL ce qui équivaut à 27,2 mg/kg/jour.

Daybue contient du parahydroxybenzoate de méthyle sodique et du parahydroxybenzoate de propyle sodique

Peut provoquer des réactions allergiques (éventuellement retardées).

Daybue contient du Rouge Allura AC

Peut provoquer des réactions allergiques.

Daybue contient du sodium

Ce médicament contient moins de 1 mmol de sodium (23 mg) par dose, c'est-à-dire qu'il ne contient pratiquement pas de sodium.

3. Comment prendre Daybue

Veillez à toujours prendre ce médicament en suivant exactement les indications de votre médecin ou de votre pharmacien. En cas de doute, consultez votre médecin ou votre pharmacien.

Prise de Daybue

La dose recommandée de Daybue dépend de votre poids corporel.

| Poids du patient | Dosage de Daybue (mL)[†] |
|-------------------------|--|
| 9 kg à moins de 12 kg | 25 mL deux fois par jour |
| 12 kg à moins de 20 kg | 30 mL deux fois par jour |
| 20 kg à moins de 35 kg | 40 mL deux fois par jour |
| 35 kg à moins de 50 kg | 50 mL deux fois par jour |
| 50 kg ou plus | 60 mL deux fois par jour |

[†] Le médecin peut, pour vous ou votre enfant, commencer le traitement avec une dose plus faible afin d'atténuer les effets indésirables possibles (voir section 4. Effets indésirables possibles). Le traitement peut débuter avec 25 % de la dose recommandée pendant 15 jours, puis la dose peut être augmentée de 25 % toutes les deux semaines jusqu'à atteindre la dose recommandée.

Prenez la dose prescrite par votre médecin deux fois par jour, matin et soir, avec ou sans nourriture.

Prenez ce médicament par voie orale ou administrez-le par une sonde gastrique (G). Si vous ou votre enfant avez une sonde gastro-jéjunale (GJ), utilisez l'orifice G pour administrer ce médicament. Voir les instructions ci-dessous.

Après avoir commencé Daybue, si vous présentez certains effets indésirables (voir rubrique 2), votre médecin pourra diminuer votre dose ou arrêter votre traitement temporairement ou définitivement si nécessaire.

Personnes atteintes d'une maladie rénale

Si vous souffrez d'une maladie rénale, veuillez en parler à votre médecin. Votre dose de Daybue pourrait devoir être adaptée.


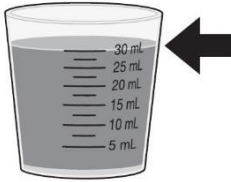
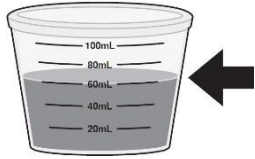


Instructions posologiques

Mesurez la dose prescrite à l'aide du gobelet doseur de 30 mL ou de 110 mL fourni. N'utilisez pas de gobelet doseur domestique.

Veillez lire les instructions ci-dessous pour plus d'informations relatives à la façon de préparer et d'administrer la dose correctement. Vérifiez auprès de votre médecin ou de votre pharmacien si vous ne savez pas comment utiliser le gobelet doseur.

Après avoir pris la dose prescrite, rincez le gobelet doseur à l'eau froide courante et séchez-le à l'air libre. Conservez le gobelet doseur nettoyé avec le flacon jusqu'à la prochaine utilisation. Les gobelets doseurs doivent être jetés avec le médicament 14 jours après l'ouverture du flacon.

COMMENT PREPARER VOTRE DOSE DE SOLUTION BUVABLE DAYBUE

| Avant d'administrer Daybue | | |
|---|--|---|
| Étape 1 | Retirez le bouchon de sécurité enfant en appuyant sur le bouchon et en le tournant dans le sens inverse des aiguilles d'une montre. |  |
| Préparation d'une dose de Daybue | | |
| Étape 2 | <p>Si votre dose prescrite est de 30 mL maximum :</p> <p>Utilisez le gobelet doseur de 30 mL pour mesurer le volume correct (mL) de la solution buvable.</p> | <p>Pour une dose de 30 mL</p>  |
| | <p>Si votre dose prescrite est supérieure à 30 mL :</p> <p>Utilisez le gobelet doseur de 110 mL pour mesurer le volume correct (mL) de la solution buvable.</p> | <p>Pour une dose de 60 mL</p>  |
| Administration de Daybue | | |
| Étape 3 | <p>Veillez à ce que le patient boive toute la solution contenue dans le gobelet doseur.</p> <p>Le patient doit être assis en position verticale lorsqu'il prend le médicament.</p> |  |
| Étape 4 | Fermez le flacon avec le bouchon de sécurité enfant après chaque utilisation. |  |
| Étape 5 | Rincez le gobelet doseur à l'eau froide courante et séchez-le à l'air libre avant la prochaine utilisation. | |

| Élimination de Daybue | |
|------------------------------|---|
| Étape 6 | Jetez toute solution de Daybue non utilisée et les gobelets doseurs 14 jours après la première ouverture du flacon. |

Administration de Daybue par sonde gastrique (G) et G-port des sondes gastro-jéjunales (GJ) Daybue peut être administré via une sonde G ou un orifice G des sondes GJ. Utilisez le gobelet doseur fourni avec ce médicament pour mesurer la dose prescrite. Voir les instructions ci-dessus. Utilisez la seringue incluse dans le kit de sonde G et de sonde GJ pour administrer la dose, en suivant les instructions du fabricant. La sonde doit être rincée à l'eau après l'administration du médicament.

Si vous avez pris plus de Daybue que vous n'auriez dû

Adressez-vous à votre médecin ou à votre pharmacien si vous ou votre enfant avez pris plus de Daybue que ce que votre médecin a prescrit ou si vous avez pris la dose avant qu'elle ne soit prévue. Prendre plus de Daybue que prescrit peut provoquer des vomissements.

Si vous vomissez pendant que vous prenez une dose de Daybue

Ne prenez pas une autre dose pour compenser cette dose. Attendez et prenez la dose suivante à l'heure habituelle. Appelez votre médecin si vos vomissements ne cessent pas.

Si vous oubliez de prendre Daybue

Si vous ou votre enfant avez oublié une dose de Daybue, sautez cette dose et prenez la dose suivante à l'heure habituelle. Ne prenez pas 2 doses pour compenser la dose oubliée.

Si vous arrêtez de prendre Daybue

N'arrêtez pas de prendre Daybue sans en parler d'abord à votre médecin ou à votre pharmacien. Il est important de prendre ce médicament chaque jour, tant que votre médecin le prescrit pour vous ou votre enfant.

Adressez-vous à votre médecin ou à votre pharmacien si vous avez d'autres questions sur l'utilisation de ce médicament.

4. Effets indésirables possibles

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.

Très fréquents (pouvant toucher plus de 1 personne sur 10)

- Diarrhée
- Vomissements
- Perte de poids

Fréquents (pouvant toucher jusqu'à 1 personne sur 10)

- Crise convulsive
- Irritabilité
- Diminution de l'appétit

Signalement des effets indésirables

Si vous ressentez un quelconque effet indésirable, parlez-en à votre médecin ou à votre pharmacien. Cela s'applique également à tout effet indésirable non mentionné dans cette notice. Vous pouvez également signaler les effets indésirables directement via :

Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) et réseau des Centres Régionaux de Pharmacovigilance. Site internet : <https://signalement.social-sante.gouv.fr/>

En signalant les effets indésirables, vous contribuez à fournir davantage d'informations sur la sécurité d'emploi de ce médicament

5. Comment conserver Daybue

Tenez ce médicament hors de la vue et de la portée des enfants.

N'utilisez pas ce médicament après la date de péremption indiquée sur l'emballage après « EXP ». La date de péremption fait référence au dernier jour de ce mois.

Conservez au réfrigérateur (entre 2°C et 8°C). Ne pas congeler.

Après la première ouverture du flacon, conservez le flacon en position verticale et jetez tout médicament non utilisé après 14 jours.

Gardez le bouchon de sécurité enfant bien fermé.

N'utilisez pas ce médicament si vous remarquez que l'emballage est endommagé ou s'il présente des signes d'altération.

Ne jetez aucun médicament dans les eaux usées ou avec les ordures ménagères. Demandez à votre pharmacien comment jeter les médicaments que vous n'utilisez plus. Ces mesures contribueront à protéger l'environnement.

6. Contenu de l'emballage et autres informations ce que contient Daybue

La substance active est le trofinétide. Chaque mL de solution buvable contient 200 mg de trofinétide.

Les autres composants sont le maltitol (E965), le méthylparahydroxybenzoate de sodium (E219), le propylparahydroxybenzoate de sodium, le Rouge Allura AC (E129), le sucralose (E955), l'arôme fraise (arômes artificiels, le propylène glycol (E1520)), l'eau purifiée.

Aspect de Daybue et contenu de l'emballage

Daybue est une solution buvable rose à rouge.

La boîte contient 1 flacon de 450 mL de solution buvable de Daybue.

Les 2 gobelets doseurs (30 mL et 110 mL) sont fournis séparément. Le gobelet doseur de 30 mL est gradué de 5 mL à 30 mL par incréments de 2,5 mL. Le gobelet doseur de 110 mL est gradué de 10 mL à 110 mL par incréments de 10 mL.

Sponsor

Acadia Inc.
12839 El Camino Real, Suite 400 San
Diego, CA, 92130
USA

Fabricant

CoreRx, Inc.
14205 Myerlake Circle
Clearwater, FL 33760 USA

Patheon Inc.

2100 Syntex Court Mississauga,
Ontario, L5N 7K9 Canada

La dernière date à laquelle cette notice a été révisée est : 4 décembre 2025.