Dystrophie musculaire de Duchenne

Brève AFM

Myopathie de Duchenne : le vamorolone, un anti-inflammatoire mieux toléré

Le vamorolone évalué chez 48 garçons atteints de DMD semble améliorer la fonction motrice après 24 semaines de traitement avec moins d'effets secondaires à court terme

Les corticostéroïdes comme la prednisone sont prescrits dès l'âge de 4-5 ans dans la [dystrophie musculaire de Duchenne \(DMD\)](#) dans le but de retarder la perte de la marche. Mais leurs effets sur le poids, la santé osseuse ou encore l'humeur restent complexes à gérer.

Le **vamorolone**, un anti-inflammatoire stéroïdien de nouvelle génération, pourrait bien apporter une solution à ces difficultés. Conçu par la société *ReveraGen Biopharma*, ce stéroïde synthétique agirait dans la DMD comme les corticostéroïdes classiques sans en avoir les effets secondaires, au moins à court terme. C'est ce que tendent à montrer les résultats d'un essai clinique de phase II, qui viennent d'être publiés dans la [revue Neurology](#).

Une efficacité sur la fonction motrice

Dans cet essai international, 4 groupes de 12 garçons atteints de DMD âgés de 4 à 6 ans, jamais traités avec des corticostéroïdes, ont reçu du vamorolone chaque jour durant 6 mois à une dose différente pour chaque groupe (0,25 - 0,75 - 2,0 – 6,0 mg/kg). Les performances motrices des participants ont été évaluées régulièrement en mesurant le temps pour se mettre debout, pour courir ou marcher 10 mètres ou pour monter 4 marches, la distance de marche parcourue en 6 minutes...

Après 24 semaines de traitement, les performances des garçons traités ont augmenté significativement, principalement pour les deux groupes traités avec les deux plus fortes doses. Les garçons qui ont reçu chaque jour 6 mg/kg de vamorolone se relèvent plus rapidement du sol (en moins d'un dixième de seconde), marchent plus longtemps durant 6 minutes (13% de plus soit 40 m environ) qu'avant traitement et ont augmenté leurs performances motrices globale de 2 à 2,5 points pour les tests moteurs.

Peu d'effets secondaires propres aux corticoïdes à court terme

Le vamorolone est bien toléré. Des indicateurs sanguins de la santé osseuse, comme l'ostéocalcine, reflètent qu'après 24 semaines (près de 6 mois) de traitement, celle des enfants est bonne, quelles que soient les doses de vamorolone administrées. D'autres dosages sanguins montrent que le vamorolone ne perturbe pas le métabolisme de l'insuline, ni la production de corticostéroïdes naturels par les glandes surrénales.

D'autres essais cliniques sont en cours dans plusieurs pays (États-Unis, Canada...) pour évaluer sur à plus long terme (2 ans) l'efficacité et les effets secondaire du vamorolone dans la DMD.

Source

[Vamorolone trial in Duchenne muscular dystrophy shows dose-related improvement of muscle function.](#)
Hoffman EP, Schwartz BD, Mengle-Gaw LJ, Smith EC, Castro D, Mah JK, McDonald CM, Kuntz NL, Finkel RS, Guglieri M, Bushby K, Tulinius M, Nevo Y, Ryan MM, Webster R, Smith AL, Morgenroth LP, Arrieta A, Shimony M, Siener C, Jaros M, Shale P, McCall JM, Nagaraju K, van den Anker J, Conklin LS, Cnaan A, Gordish-Dressman H, Damsker JM, Clemens PR; and the Cooperative International Neuromuscular Research Group.
Neurology. 2019 Aug 26

Voir l'essai [NCT02760277](#) sur le site [clinicaltrials.gov](#) (En Anglais)

Brève AIM

Le vamorolone s'avère être un corticoïde avec des effets secondaires moins marqués à court terme dans la myopathie de Duchenne

Le **vamorolone** est un anti-inflammatoire stéroïdien de nouvelle génération conçu par la société *ReveraGen Biopharma* ; il agirait dans la myopathie de Duchenne (DMD) sur la fonction motrice comme les corticostéroïdes classiques sans en avoir les effets secondaires (ostéoporose, prise de poids,... impact sur le métabolisme de l'insuline ou le fonctionnement des glandes surrénales...).

Dans un [essai international de phase II](#), 4 groupes de 12 garçons atteints de DMD âgés de 4 à 6 ans, naïfs de glucocorticoïdes, ont reçu quotidiennement 0,25, 0,75, 2,0 ou 6,0 mg/kg de vamorolone pendant 6 mois.

La fonction motrice des participants a été évaluée après 4, 8, 16 et 24 semaines de traitement par des tests classiques : temps pour se mettre debout, pour courir ou marcher 10 mètres ou pour monter 4 marches, test de 6 minutes de marche, échelle *NSAA* (*North Star Ambulatory Assessment*)...

Après 24 semaines de traitement, les performances motrices des garçons traités ont été améliorées significativement, principalement pour les deux groupes traités avec les deux plus fortes doses :

- les garçons se relèvent plus rapidement du sol (en moins d'un dixième de seconde) ;
- ils marchent plus longtemps durant 6 minutes (13% de plus soit 40 m environ) ;
- ils ont augmenté leurs performances globales de 2 à 2,5 points pour la *NSAA*.

Le vamorolone a été bien toléré. À 24 semaines de traitement :

- une augmentation de l'ostéocalcine dans le sang reflète une synthèse osseuse active ;
- il n'y a pas de perturbation biochimique relative au métabolisme de l'insuline ou au fonctionnement des glandes surrénales.

D'autres essais cliniques sont en cours dans plusieurs pays (États-Unis, Canada...) pour évaluer à plus long terme (2 ans) l'efficacité et les effets secondaires du vamorolone dans la DMD.

Source

[Vamorolone trial in Duchenne muscular dystrophy shows dose-related improvement of muscle function.](#)
Hoffman EP, Schwartz BD, Mengle-Gaw LJ, Smith EC, Castro D, Mah JK, McDonald CM, Kuntz NL, Finkel RS, Guglieri M, Bushby K, Tulinius M, Nevo Y, Ryan MM, Webster R, Smith AL, Morgenroth LP, Arrieta A, Shimony M, Siener C, Jaros M, Shale P, McCall JM, Nagaraju K, van den Anker J, Conklin LS, Cnaan A, Gordish-Dressman H, Damsker JM, Clemens PR; and the Cooperative International Neuromuscular Research Group.
Neurology. 2019 Aug 26

Voir l'essai [NCT02760277](#) sur le site [clinicaltrials.gov](#) (En Anglais)