

## Dystrophie musculaire de Duchenne

### Brève AFM

#### Myopathie de Duchenne : STRIDE, le registre de suivi de l'ataluren

**STRIDE, le premier registre européen de suivi post-AMM de l'ataluren inclut 213 garçons atteints de DMD, dont 54 en France.**

En juillet 2014, l'ataluren obtenait, en Europe, une autorisation de mise sur le marché (AMM) conditionnelle dans la [myopathie de Duchenne](#), sous le nom de Translarna®.

Le Translarna® peut être prescrit par un médecin hospitalier aux garçons âgés de plus de 2 ans (l'âge de prescription a été élargi en août 2018, passant de 5 ans à 2 ans), qui marchent encore et ont une [mutation non-sens](#) du gène *DMD*. La dose est de 40 mg/kg/jour en 3 prises quotidiennes par voie orale. En 2015, sous l'impulsion de l'Agence européenne du médicament (EMA), une étude dite « post-AMM » a été mise en place par le laboratoire *PTC Therapeutics*, qui commercialise le Translarna®. Cette étude encore en cours s'appelle aujourd'hui le registre STRIDE ([PTC PASS](#) auparavant). Son but est d'évaluer sur une durée de cinq ans l'innocuité et l'efficacité de l'ataluren dans le cadre du suivi habituel en consultation neuromusculaire.

#### Une cohorte de 213 garçons dans 11 pays européens

Un article publié en août 2019 dans le *Journal of comparative effectiveness research* décrit les caractéristiques des 213 garçons inclus dans ce registre entre mars 2015 et juillet 2018.

Issus de 11 pays européens, 25,4 % d'entre eux (54 garçons) sont suivis dans des consultations pluridisciplinaires françaises, 23 % en Italie, 17,4 % au Royaume-Uni ; 15,5% en Allemagne et les autres sont répartis dans différents pays comme la Suède, l'Autriche...

L'apparition des premiers symptômes est survenue en moyenne à 2,7 ans (+/- 1,7 ans). L'âge moyen du diagnostic génétique est de 5,2 ans (+/- 2,9 ans) ; neuf garçons sont d'ailleurs sortis du registre en raison d'une inadéquation entre l'anomalie génétique diagnostiquée et celle ciblée par l'ataluren.

Dans le cadre de l'étude, les participants ont démarré le traitement par l'ataluren à 9,8 ans en moyenne ; au moment de l'analyse, ils avaient été traités un peu moins de 2 ans.

Les garçons inclus dans le registre sont 95 % à recevoir d'autres médicaments que l'ataluren, en particulier des [corticoïdes](#) utilisés par 89,2 % d'entre eux, des inhibiteurs de l'enzyme de conversion (26,8%) pour protéger le cœur ou de la vitamine D (54%) et du calcium (5,2%) pour compenser les effets osseux des corticoïdes.

La cohorte STRIDE étant plus hétérogène que celles habituellement constituées pour les études cliniques randomisées, les auteurs de l'article supposent que cela pourrait fournir une vision plus proche de la réalité de la situation des personnes atteintes de DMD.

Les premiers résultats d'efficacité et d'innocuité de l'ataluren dans le cadre du registre STRIDE devraient permettre d'en savoir plus. Résultats d'ici quelques mois...

#### Source :

[Ataluren use in patients with nonsense mutation Duchenne muscular dystrophy: patient demographics and characteristics from the STRIDE Registry](#)

Muntoni F, Desguerre I, Guglieri M et al.

*Journal of Comparative Effectiveness Research*, August 2019

## Brève AIM

### Myopathie de Duchenne : premières données publiées sur le registre de suivi post-AMM de l'ataluren

En juillet 2014, l'ataluren obtenait, en Europe, une autorisation de mise sur le marché (AMM) conditionnelle dans la myopathie de Duchenne, sous le nom de Translarna®.

L'ataluren peut être prescrit, dans un cadre hospitalier, aux garçons âgés de plus de 2 ans encore marchant, ayant une anomalie du gène *DMD* de type codon stop, à la dose de 40 mg/kg/jour en 3 prises quotidiennes par voie orale.

En 2015, une étude post-AMM, le [registre STRIDE](#) (étude PTCpass initialement) a été mise en place par *PTC Therapeutics* ; qui commercialise le Translarna®, à la demande de l'Agence européenne du médicament (EMA). Le but était d'évaluer l'ataluren à long terme, chez plus de 200 patients traités et suivis en routine par une consultation neuromusculaire.

#### Une cohorte de 213 garçons dans 11 pays européens

Un article publié en juillet 2019 dans le *Journal of comparative effectiveness research* décrit les caractéristiques des patients inclus dans ce registre, trois ans après son lancement.

- De mars 2015 à juillet 2018, 213 garçons ont été inclus.
- Ils sont suivis dans 11 pays d'Europe : 25,4 % en France, 23 % en Italie, 17,4 % au Royaume Uni et 15,5% en Allemagne, et dans d'autres pays comme la Suède, l'Autriche...
- Le diagnostic génétique des garçons inclus a été établi en moyenne à 5,2 ans (+/- 2,9 ans).
- Les premiers symptômes sont apparus en moyenne à l'âge de 2,7 ans (+/- 1,7 ans).
- Le début du traitement a démarré à l'âge de 9,8 ans, avec une durée moyenne d'exposition à l'ataluren de moins de 2 ans (639 jours).
- La plupart des garçons (95%) reçoivent d'autres traitements : 89,2% des corticostéroïdes, 26,8 % des inhibiteurs de l'enzyme de conversion, 54% de la vitamine D...

Les premiers résultats d'efficacité et d'innocuité de l'ataluren en vie réelle, dans le cadre du registre STRIDE, devraient permettre d'en savoir plus. Résultats d'ici quelques mois...

#### Source :

[Ataluren use in patients with nonsense mutation Duchenne muscular dystrophy: patient demographics and characteristics from the STRIDE Registry](#)

Muntoni F, Desguerre I, Guglieri M et al.

*Journal of Comparative Effectiveness Research*, August 2019