

Brève AFM

<https://www.afm-telathon.fr/actualites/myopathie-duchenne-idebenone-c-est-fini-140624>

Myopathie de Duchenne : l'idebenone, c'est fini

L'absence d'efficacité de l'idebenone sur la fonction respiratoire dans la DMD a conduit le laboratoire Santhera à stopper l'évaluation de cette molécule en essai clinique notamment en France.

Santhera pharmaceuticals a annoncé le 6 octobre 2020 dans un communiqué de presse, l'arrêt du développement de l'idebenone dans la [dystrophie musculaire de Duchenne](#).

L'idebenone est un antioxydant qui protège les membranes des cellules et des mitochondries. Il est évalué depuis plus de 10 ans dans la DMD. Durant cette période, les résultats de plusieurs essais cliniques ont été publiés montrant la bonne tolérance du produit et une certaine efficacité sur l'atteinte respiratoire : en [juin 2011](#) pour l'essai Delphi ; en [avril 2015](#) et en [mai 2016](#) pour l'essai Delos et enfin en [mars 2020](#) pour l'étude Syros.

Deux essais cliniques, [l'essai Sideros](#) et son extension en ouvert, [l'essai Sideros-E](#), comptant plusieurs centres en France, étudiaient l'efficacité de l'idebenone sur le maintien de la fonction respiratoire.

L'inefficacité de l'idebenone pointée par des experts

Un comité d'experts indépendants a analysé les données de l'essai Sideros obtenues après 18 mois de traitement par l'idebenone chez 255 garçons atteints de DMD recevant aussi des corticoïdes. Ce comité a conclu que si le traitement avec l'idebenone est bien toléré et sûr, il n'améliore pas suffisamment la capacité vitale forcée (un indice de la bonne santé respiratoire) pour espérer atteindre un seuil d'efficacité significative sur le long terme.

Arrêt du programme de l'idebenone dans la DMD

Santhera Pharmaceuticals a décidé de stopper l'essai Sideros et son extension Sideros-E.

Le laboratoire a annoncé également qu'il retire sa demande de mise sur le marché de l'idebenone (nom : Puldysa) auprès de l'Agence européenne du médicament (EMA) arrêtant ainsi le développement de l'idebenone. Il entend désormais se consacrer pleinement à l'évaluation du [vamorolone dans la DMD](#), un anti-inflammatoire aux résultats encourageants.

Des centres investigateurs qui accompagnent cet arrêt

Le laboratoire a informé les centres investigateurs de l'arrêt des essais Sideros et Sideros-E. Il annoncé également que les résultats cliniques ne justifiaient pas de mise à disposition de l'idebenone à titre compassionnel. En France, 5 centres investigateurs avaient inclus des patients dans ces deux essais (Lille, Montpellier, Nantes, Paris, Toulouse) et ont d'ores et déjà pris contact avec eux.

N'hésitez pas à contacter votre centre investigateur ou votre [Service Régional AFM-Téléthon](#) si nécessaire.

Contact des centres investigateurs

Lille (CHRU, Hôpital Jeanne de Flandres – JM. Cuisset – secrétariat : + 33 (0)3 20 44 53 25)

Montpellier (CHRU, Hôpital Gui de Chauliac – U. Walter-Louvier – secrétariat : + 33 (0)4 67 33 01 87)

Nantes (Hôpital Hôtel Dieu – Y. Péreon – secrétariat : + 33 (0)2 40 08 36 17)

Paris (Institut I-Motion - hôpital Trousseau – secrétariat : + 33 (0)1 44 73 65 44)

Toulouse (Hôpital des enfants – C. Cances - secrétariat : + 33 (0)5 34 55 74 08)

Source

[Santhera to Discontinue Phase 3 SIDEROS Study and Development of Puldysa® in Duchenne Muscular Dystrophy \(DMD\) and Focus on Vamorolone](#)

WEB <http://www.santhera.com/> Communiqué de presse du 6 octobre 2020

Brève AIM

Le laboratoire Santhera Pharmaceuticals a annoncé le 6 octobre 2020 la fin du développement de l'idebenone dans la dystrophie musculaire de Duchenne.

L'idebenone est un antioxydant développé par *Santhera pharmaceuticals* évalué depuis plus de 10 ans dans la [dystrophie musculaire de Duchenne](#) pour ses effets potentiels sur la fonction respiratoire. Deux essais cliniques de ce produit [l'essai Sideros](#) et [l'essai Sideros-E](#), étudiaient l'efficacité de l'idebenone sur le maintien de la fonction respiratoire.

Pas assez efficace

Un comité d'experts indépendant (*Data and Safety Monitoring Board*) a évalué les données de l'essai Sideros obtenues après 18 mois de traitement par l'idebenone chez 255 garçons atteints de DMD recevant aussi des corticoïdes. Il a conclu de ses analyses que l'idebenone était bien toléré et sûr mais qu'il ne parvenait pas à maintenir une capacité vitale suffisante pour espérer atteindre un seuil d'efficacité significative sur le long terme.

Le laboratoire *Santhera Pharmaceuticals* a donc annoncé l'arrêt de ce programme de développement clinique, c'est-à-dire l'arrêt des essais en cours Sideros et Sideros-E, ainsi que le retrait de ses demandes de mises sur le marché de l'idebenone auprès de l'EMA.

Il a également précisé qu'il n'y aurait pas de mise à disposition de l'idebenone à titre compassionnel. En France, 5 centres investigateurs avaient inclus des patients dans ces deux essais, Lille, Montpellier, Nantes, Paris, Toulouse.

Source

[*Santhera to Discontinue Phase 3 SIDEROS Study and Development of Puldysa® in Duchenne Muscular Dystrophy \(DMD\) and Focus on Vamorolone*](#)

WEB <http://www.santhera.com/> Communiqué de presse du 6 octobre 2020