Dystrophie musculaire de Duchenne

Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/myopathie-duchenne-vamorolone-efficace-sur-18-mois-140634>

Myopathie de Duchenne : le vamorolone efficace sur 18 mois

Le vamorolone, un nouvel anti-inflammatoire, a les mêmes effets positifs que les corticostéroïdes sur la fonction motrice dans la DMD, les effets secondaires en moins.

Le [vamorolone \(VBP15\)](#) est un analogue des stéroïdes développé par le laboratoire *ReveraGen Biopharma*, filiale de *Santhera Pharmaceuticals* : c'est un anti-inflammatoire qui agit comme les glucocorticoïdes sans en avoir les effets secondaires.

Une évaluation sur le long terme

Le vamorolone sous forme orale a été évalué dans un premier essai de phase II durant 6 mois chez 46 garçons atteints de [dystrophie musculaire de Duchenne](#) (DMD), âgés de 4 à 7 ans. À l'issue de cet essai, les participants ont eu le choix de continuer à prendre le vamorolone pendant 2 ans ou d'opter pour des corticoïdes (prednisone ou deflazacort), dans le cadre d'un essai d'extension de phase II en ouvert. Tous ont opté pour le vamorolone, permettant l'évaluation de l'efficacité et de la tolérance de ce produit sur un temps plus long. Les résultats intermédiaires de ces deux essais viennent d'être publiés dans la revue *PlosOne*.

Une amélioration motrice qui se confirme sur la durée

Les résultats des groupes d'enfants traités pendant 18 mois (12 mois de la phase d'extension et 6 mois dans l'essai préalable) avec deux doses différentes de vamorolone (2 ou 6 mg/Kg/jour) montrent une amélioration de leurs performances motrices.

La vitesse pour se relever du sol, celle pour monter 4 marches, ou marcher/courir sur 10 mètres ainsi que la distance parcourue durant 6 minutes de marche affichent des valeurs significativement meilleures, tout comme pour les mesures globales de la motricité avec l'échelle motrice NSAA.

Toutes les performances motrices, hormis celles concernant la vitesse pour se relever du sol, sont également significativement meilleures chez les garçons traités par le vamorolone en comparaison d'un groupe contrôle de 19 garçons du même âge atteints de DMD et sans traitement (ni vamorolone, ni glucocorticoïdes), issus de [l'étude d'histoire naturelle CIRNG](#).

Moins d'effets secondaires que les corticoïdes habituels

La croissance des enfants traités par le vamorolone n'est pas ralentie. Certains autres effets secondaires liés aux traitements par les glucocorticoïdes, comme le gain de poids, les troubles comportementaux et la rétention d'eau s'avèrent moindres avec le vamorolone.

Source

[Efficacy and safety of vamorolone in Duchenne muscular dystrophy: An 18-month interim analysis of a non-randomized open-label extension study](#)

Edward C Smith, Laurie S Conklin, Eric P Hoffman, Paula R Clemens, Jean K Mah, Richard S Finkel, Michela Guglieri, Mar Tulinius, Yoram Nevo, Monique M Ryan, Richard Webster, Diana Castro, Nancy L Kuntz, Laurie Kerchner, Lauren P Morgenroth, Adrienne Arrieta, Maya Shimony, Mark Jaros, Phil Shale, Heather Gordish-Dressman, Laura Hagerty, Utkarsh J Dang, Jesse M Damsker, Benjamin D Schwartz, Laurel J Mengle-Gaw, Craig M McDonald, CINRG VBP15 and DNHS Investigators

Brève AIM

Le vamorolone, nouvel anti-inflammatoire, améliore la fonction motrice dans la myopathie de Duchenne sans les effets secondaires des corticostéroïdes.

Le [vamorolone \(VBP15\)](#) est un analogue des stéroïdes développé par le laboratoire *ReveraGen Biopharma*, filiale de *Santhera Pharmaceuticals*. Cet anti-inflammatoire agit comme les glucocorticoïdes sans en avoir les effets secondaires. Les résultats intermédiaires de l'évaluation du vamorolone dans un essai clinique de phase II d'une durée de 6 mois puis son extension en ouvert qui a duré 2 ans viennent d'être publiés dans la revue *PlosOne*.

Une amélioration motrice à moyen terme avec peu d'effets secondaires

Dans ces 2 essais successifs, 46 participants, des garçons âgés de 4 à 7 ans, atteints de dystrophie musculaire de Duchenne ont été traités avec le vamorolone oral. Les résultats publiés portent sur deux groupes d'enfants qui ont reçu durant 18 mois (12 mois de l'extension en ouvert et 6 mois de l'essai préalable) 2 ou 6 mg/Kg/jour de vamorolone.

Les résultats indiquent une amélioration des performances motrices des garçons. La vitesse pour se relever du sol, celle pour monter 4 marches, marcher/courir sur 10 mètres, la distance parcourue durant 6 minutes de marche, ainsi que les mesures globales de la motricité avec l'échelle motrice NSAA ont des valeurs significativement plus élevées.

Ces mesures, hormis celles concernant la vitesse pour se relever du sol, sont significativement meilleures chez les garçons traités avec le vamorolone en comparaison d'un groupe contrôle externe de 19 garçons du même âge atteints de DMD et sans traitement (ni vamorolone, ni glucocorticoïdes), issu de l'étude d'histoire naturelle CINRG.

Les effets secondaires classiques des glucocorticoïdes (croissance, prise de poids, troubles comportementaux, rétention d'eau) sont minorés dans cet essai.

Source

[*Efficacy and safety of vamorolone in Duchenne muscular dystrophy: An 18-month interim analysis of a non-randomized open-label extension study*](#)

Edward C Smith , Laurie S Conklin, Eric P Hoffman, Paula R Clemens, Jean K Mah, Richard S Finkel, Michela Guglieri, Mar Tulinius, Yoram Nevo, Monique M Ryan, Richard Webster, Diana Castro, Nancy L Kuntz, Laurie Kerchner, Lauren P Morgenroth, Adrienne Arrieta, Maya Shimony, Mark Jaros, Phil Shale, Heather Gordish-Dressman, Laura Hagerty, Utkarsh J Dang, Jesse M Damsker, Benjamin D Schwartz, Laurel J Mingle-Gaw, Craig M McDonald, CINRG VBP15 and DNHS Investigators