

Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/nouvelles-donnees-viltolarsen-dans-dmd-140702>

De nouvelles données du viltolarsen dans la DMD

L'essai japonais de phase I/II du viltolarsen confirme l'augmentation de la production de dystrophine dans le muscle par ce traitement visant au saut de l'exon 53 du gène DMD.

Le viltolarsen (NS-065/NCNP-01) est un [oligonucléotide anti-sens](#) de type morpholino (*PMO pour phosphorodiamidate morpholino oligomer*) développé par le laboratoire japonais *Shinyaku Co. Ltd*, qui a obtenu, en mars 2020, une autorisation de mise sur le marché (AMM) au Japon dans [la dystrophie musculaire de Duchenne](#) sous le nom de Viltepso®. Le viltolarsen cible le saut de l'exon 53 du gène de la dystrophine. Cette autorisation s'est appuyée sur deux essais cliniques, [un essai américain de phase II](#) dont les résultats ont été publiés en mai 2020 et un essai de phase I/II qui a eu lieu au Japon et dont les résultats viennent d'être publiés en décembre 2020 dans la revue *Annals of clinical and translational neurology*.

Des résultats qui confirment ceux de l'étude américaine

Cet essai japonais de phase I/II en ouvert a concerné 16 garçons ambulants ou non, atteints de DMD âgés de 5 à 12 ans. Il a évalué 2 doses de viltolarsen, 40 et 80 mg/kg/semaine, administrées en injections intraveineuses durant 12 à 24 semaines. Ses résultats montrent :

- une bonne tolérance du viltolarsen avec des effets secondaires modérés ;
- une augmentation significative à 12 et 24 semaines de la production de dystrophine dans le muscle de 2,78 % par rapport au taux initial, pour la dose de 80 mg/kg/semaine ;
- une augmentation moyenne du taux de saut d'exon 53 de 42,4 % et de 21,8 % respectivement pour la forte et faible dose de viltolarsen ;
- un déclin de la fonction motrice moins marqué chez les patients traités dont le taux de dystrophine a augmenté dans le muscle.

Ces résultats doivent être confirmés par des investigations plus larges : deux essais internationaux de phase II et de phase III sont en cours.

Source

[Viltolarsen in Japanese Duchenne muscular dystrophy patients: A phase 1/2 study](#)

Hirofumi Komaki , Yasuhiro Takeshima , Tsuyoshi Matsumura , Shiro Ozasa , Michinori Funato , Eri Takeshita , Yasuyuki Iwata , Hiroyuki Yajima , Yoichi Egawa , Takuya Toramoto , Masaya Tajima , Shinichi Takeda

Ann Clin Transl Neurol. 2020 Dec 7. doi: 10.1002/acn3.51235. Online ahead of print.

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2020/12/29/les-resultats-de-lessai-japonais-de-phase-i-ii-viltolarsen-dans-la-dmd-confirme-les-effets-positifs-sur-la-production-de-dystrophine-et-le-taux-de-saut-d'exon-53-du-gene-dmd/>

Les résultats de l'essai japonais de phase I/II viltolarsen dans la DMD confirme les effets positifs sur la production de dystrophine et le taux de saut d'exon 53 du gène DMD.

Le viltolarsen (NS-065/NCNP-01) est un oligonucléotide anti-sens développé par le laboratoire japonais *Shinyaku Co. Ltd* qui cible le saut de l'exon 53 du gène de la dystrophine dans la dystrophie musculaire de Duchenne. Le [viltolarsen est autorisé au Japon](#) depuis mars 2020, une autorisation qui s'est appuyée sur deux essais cliniques, un essai américain de phase II dont les résultats ont été publiés en mai 2020 et un essai de phase I/II japonais dont les résultats viennent d'être publiés dans la revue *Annals of clinical and translational neurology*.

Des résultats qui confirment ceux de l'étude américaine

Dans cet essai de phase I/II en ouvert, 16 garçons ambulants ou non, atteints de DMD âgés de 5 à 12 ans ont été traités par 40 et 80 mg/kg/semaine de viltolarsen pendant 12 à 24 semaines. Les résultats de cet essai montrent :

- une bonne tolérance du viltolarsen ;
- une augmentation significative à 12 et 24 semaines de dystrophine dans le muscle de 2,78 % par rapport au taux initial pour la dose de 80 mg/kg/semaine et un déclin moteur moins marqué chez les patients traités dont le taux de dystrophine a augmenté dans le muscle.
- une augmentation moyenne du taux de saut d'exon 53 de 42,4 % et de 21,8 % respectivement pour la forte et la faible dose de viltolarsen.

Deux essais internationaux de phase II et de phase III sont en cours pour confirmer ces résultats.

Source

[Viltolarsen in Japanese Duchenne muscular dystrophy patients: A phase 1/2 study](#)

Hirofumi Komaki , Yasuhiro Takeshima , Tsuyoshi Matsumura , Shiro Ozasa , Michinori Funato , Eri Takeshita , Yasuyuki Iwata , Hiroyuki Yajima , Yoichi Egawa , Takuya Toramoto , Masaya Tajima , Shinichi Takeda

Ann Clin Transl Neurol. 2020 Dec 7. doi: 10.1002/acn3.51235. Online ahead of print.