Canalopathies musculaires

Mise à jour de la Brève AFM :

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/myotonies-non-dystrophiques-mexiletine-prouve-son-efficacite-141080>

Myotonies non dystrophiques : la mexilétine prouve son efficacité

Les résultats de l'essai Myomex, soutenu par l'AFM-Téléthon, conforte l'usage de la mexilétine dans les syndromes myotoniques non dystrophiques.

La mexilétine se montre bien tolérée et efficace sur les difficultés à décontracter les muscles après un mouvement (myotonie) dans deux types de canalopathies musculaires, les myotonies congénitales et la paramyotonie congénitale. Tels sont les résultats définitifs de l'essai Myomex. Il a rassemblé 25 participants dans sept centres investigateurs en France, sous l'égide de l'Assistance publique-Hôpitaux de Paris.

Manifestations musculaires et qualité de vie s'améliorent

Le critère d'évaluation principal de Myomex – l'importance de la raideur musculaire, cotée par chaque participant - a connu une amélioration très significative (-78%) aux termes de 18 jours de traitement par mexilétine, en comparaison du placebo (- 2%). La qualité de vie a suivi la même évolution favorable. Commercialisée sous le nom de Namuscla®, la mexilétine était déjà prescrite dans les myotonies non dystrophiques mais jusqu'ici, aucun essai clinique n'était venu appuyer cette indication. C'est désormais chose faite. « Il n'y a pas eu de phase d'extension de Myomex, a précisé le Dr Savine Vicart, investigateur principal de cet essai, lors du congrès de la Société Française de Myologie fin novembre 2021. Néanmoins, nous avons des données de suivi pour huit participants, aujourd'hui encore sous mexilétine. Leur score de rigidité musculaire est resté bas et stable à 94 mois », soit près de 8 ans.

Des bénéfices comparables en « vie réelle »

Consultés pour une autre étude, neuf médecins européens experts des myotonies non dystrophiques confirment les bons résultats de l'essai Myomex. Au regard de leur expérience, la majorité d'entre eux estime que la qualité de vie s'améliore plus souvent chez les malades traités par mexilétine que chez ceux qui ne prennent pas ce médicament. Ils évoquent également son possible impact positif sur la qualité de vie des aidants. Leurs critères, consensuels, de prescription du Namuscla® font partie de ceux retenus dans l'essai Myomex : myotonie non dystrophique confirmée par un test génétique, fonction cardiaque normale, symptômes impactant la vie quotidienne et suffisamment sévères pour justifier un traitement.

En dépit de l'existence de différents médicaments symptomatiques, « quatre personnes atteintes de myotonies non dystrophiques sur dix ne prennent aucun de ces traitements, sans que l'on s'explique vraiment pourquoi » précise Savine Vicart.

Sources

[Efficacy and safety of mexiletine in non-dystrophic myotonias: A randomised, double-blind, placebo-controlled, cross-over study.](#)

Vicart S, Franques J, Bouhour F et al.
Neuromuscul Disord. 2021 Jun 27:S0960-8966(21)00164-4.

[Improving the understanding of how patients with non-dystrophic myotonia are selected for myotonia treatment with mexiletine \(NaMuscla\): outcomes of treatment impact using a European Delphi panel.](#)

Chapman AM, Schurer M, Weijers L et al.
BMC Neurol. 2021 Dec 1;21(1):467.

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2021/12/17/lessai-myomex-appuie-la-prescription-de-la-mexiletine-dans-les-myotonies-non-dystrophiques/>

L'essai Myomex appuie la prescription de la mexilétine dans les myotonies non dystrophiques

Conduit par l'AP-HP et soutenu par l'AFM-Téléthon, l'essai Myomex a évalué contre placebo l'efficacité et la tolérance d'une dose quotidienne de 600 mg de mexilétine (Namuscla®) chez 25 participants, dont 13 atteints de myotonie congénitale et 12 de paramyotonie congénitale. Leurs symptômes devaient être suffisamment sévères pour justifier un traitement.

Les résultats de cet essai montrent une amélioration significative *versus* placebo :

- le score de rigidité musculaire, déterminée par les participants sur une échelle visuelle analogique, et passé de 71 au démarrage de l'essai à 16 au terme de 18 jours de traitement (-78%) ;
- de la qualité de vie dans ses différentes dimensions.

Neuf experts européens, interrogés selon la méthode Delphi, ont conforté ces conclusions à l'aune de leur expérience de prescription.

À noter qu'un [essai du Namuscla®](#) a démarré chez les enfants et adolescents atteints de myotonies non dystrophiques.

Voir aussi « [Myotonie non dystrophique : la mexilétine prouve son efficacité](#) »

Sources

[*Efficacy and safety of mexiletine in non-dystrophic myotonias: A randomised, double-blind, placebo-controlled, cross-over study.*](#)

Vicart S, Franques J, Bouhour F et al.

Neuromuscul Disord. 2021 Jun 27:S0960-8966(21)00164-4.

[*Improving the understanding of how patients with non-dystrophic myotonia are selected for myotonia treatment with mexiletine \(NaMuscla\): outcomes of treatment impact using a European Delphi panel.*](#)

Chapman AM, Schurer M, Weijers L et al.

BMC Neurol. 2021 Dec 1;21(1):467.