

Dystrophie musculaire de Duchenne

Actualité AFM

[Myopathie de Duchenne : deflazacort et prednisone au coude à coude | AFM Téléthon \(afm-telethon.fr\)](#)

Myopathie de Duchenne : deflazacort et prednisone au coude à coude

À la question récurrente de la meilleure corticothérapie dans la DMD, une revue de la littérature tranche difficilement en faveur de l'une ou l'autre des deux molécules utilisées.

Les corticoïdes sont prescrits dès l'âge de 4 à 5 ans dans la [dystrophie musculaire de Duchenne](#) pour freiner l'évolution de la maladie. Mais quelle molécule choisir entre prednisone/prednisolone et deflazacort ? La question reste débattue. Une revue de la littérature fait le point à partir de dizaines de publications impliquant des centaines de patients : essais cliniques, études d'histoire naturelle, données rétrospectives de suivi de patients...

Le deflazacort oui, mais...

Sur l'ensemble des études, le deflazacort serait globalement un peu plus efficace pour préserver la marche et la fonction motrice et particulièrement sur la rapidité à se relever du sol. Mais une efficacité équivalente des deux molécules sur la fonction motrice a cependant été montrée dans deux études citées par la revue. Les deux molécules auraient des effets équivalents à long terme.

La difficulté à trancher véritablement entre les deux molécules tiendrait, pour les auteurs, à la variabilité des formes de la maladie de Duchenne d'un garçon à l'autre ; cela rendrait plus complexe l'évaluation fine des changements générés par les corticoïdes sur la marche ou encore le mouvement ou la force.

De façon générale, la marche est maintenue en moyenne jusqu'à l'âge de 13 ans avec un traitement corticoïde précoce, contre 10 ans sans celui-ci. C'est ce que souligne la plus vaste analyse citée dans la revue qui s'appuie sur la [base de données TREAT-NMD](#) avec plus de 5345 patients de 31 pays, des résultats que l'on retrouve aussi dans l'analyse de la base de [données américaine CINRG](#).

... des risques pour les deux

Le risque de fragilisation osseuse, celui d'apparition d'une cataracte ainsi que le ralentissement de la croissance sont augmentés avec le deflazacort. De son côté, la prednisone préserve mieux ces trois aspects (os, yeux, croissance) tandis qu'elle provoque un gain de poids plus important et accentue les troubles du comportement.

Une prise quotidienne à préférer

Trois rythmes de prise du produit ont été comparés dans [un essai international multicentrique](#) : prednisone quotidienne (0,75 mg/kg/jour), deflazacort quotidien (0,9 mg/kg/jour) et prise alternée (0,75 mg/kg de prednisone pendant 10 jours suivi de pas de prise pendant 10 jours et ainsi de suite). Les résultats montrent que les deux corticothérapies quotidiennes continues s'avèrent les plus efficaces sur la fonction motrice, sans qu'il y ait de différence sur la fonction respiratoire. Il n'y a pas de différence entre les deux corticoïdes dans cet essai.

Un accès possible aux deux molécules

Si le plus souvent, en France, le médecin prescrit de la prednisone ou de la prednisolone, disponible sur simple ordonnance en pharmacie, il peut désormais prescrire du deflazacort (Calcort®, Emflaza®), disponible en France au cas par cas, uniquement dans la myopathie de Duchenne, dès l'âge de 2 ans sur demande du médecin auprès de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé l'autorité (ANSM) d'une [autorisation dite « d'accès compassionnel »](#).

Source

[Comparing Deflazacort and Prednisone in Duchenne Muscular Dystrophy](#)

Biggar W.D., Skalsky A., McDonald. C.M. *J Neuromuscul Dis.* 2022 Jun 14.

[Effect of Different Corticosteroid Dosing Regimens on Clinical Outcomes in Boys With Duchenne Muscular Dystrophy: A Randomized Clinical Trial.](#)

Guglieri M., Bushby K., McDermott MP. et al. , *JAMA.* 2022 Apr 19.

Actu AIM

<https://www.institut-myologie.org/2022/09/22/une-revue-de-la-litterature-compare-prednisone-et-deflazacort-dans-la-dmd-et-penche-pour-le-second-a-court-terme-tandis-qua-long-terme-leurs-effets-seraient-similaires/>

Une revue de la littérature compare prednisone et deflazacort dans la dystrophie musculaire de Duchenne et penche pour le second à court terme, tandis qu'à long terme, leurs effets seraient similaires.

Les corticoïdes prescrits dès l'âge de 4 à 5 ans dans la dystrophie musculaire de Duchenne permettent de retarder la perte de la marche d'au moins 2 ans et protègent notamment la fonction respiratoire. Mais entre prednisone/prednisolone et deflazacort, la question demeure : lequel prescrire ?

Une revue de la littérature a analysé des publications impliquant des centaines de patients : essais cliniques, études d'histoire naturelle, données rétrospectives, suivi post-hoc... Il en ressort que :

- Chez les patients traités avec le deflazacort, le déclin fonctionnel semble se ralentir davantage qu'avec la prednisone.
- Le deflazacort serait plus efficace à court terme sur des indicateurs comme le délai de perte de la marche et la rapidité à se relever du sol, mais sur le long terme, ce gain fonctionnel resterait équivalent à celui obtenu avec la prednisone. Globalement, les deux corticoïdes retardent la perte de la marche.
- Le deflazacort augmente le risque de perte osseuse, de cataracte et ralentit davantage la croissance comparé à la prednisone/prednisolone.
- La prednisone favorise en revanche beaucoup plus la prise de poids et augmente de manière conséquente le risque de troubles du comportement.
- La prise quotidienne de prednisone (0,75 mg/kg/jour) ou de deflazacort (0,9 mg/kg/jour) [semblent plus efficaces que la prise alternée](#) (0,75 mg/kg de prednisone pendant 10 jours puis fenêtre thérapeutique pendant 10 jours et ainsi de suite), comme le montrent les résultats d'un essai cité dans l'étude.

La difficulté à trancher entre les deux corticoïdes pourrait être liée à la variabilité des phénotypes de la maladie de Duchenne d'un garçon à l'autre, complexifiant l'évaluation fine des effets sur la marche ou encore le mouvement ou la force des deux molécules.

Source

[Comparing Deflazacort and Prednisone in Duchenne Muscular Dystrophy](#)
Biggar W.D., Skalsky A., McDonald. C.M. *J Neuromuscul Dis.* 2022 Jun 14.