

Dystrophie musculaire de Duchenne

Actualité AFM

[Duchenne : autorisation aux États-Unis d'une thérapie génique microdystrophine | AFM Téléthon \(afm-telethon.fr\)](#)

Duchenne : autorisation aux États-Unis d'une thérapie génique microdystrophine
Les autorités de santé américaines ont approuvé un premier médicament de thérapie génique par microdystrophine, l'Elevidys dans la DMD, pour les garçons âgés de 4 à 5 ans, marchants. Son efficacité clinique reste à confirmer pour entériner cette autorisation.

Le laboratoire Sarepta Therapeutics a annoncé le 22 juin 2023 l'obtention d'une autorisation de mise sur le marché de la FDA (agence réglementaire du médicament américaine) pour le **delandistrogène moxeparvovec-rokl (SRP-9001)** le produit de thérapie génique qu'il développe dans la [dystrophie musculaire de Duchenne](#) (DMD). Cette autorisation concerne les garçons atteints de DMD, âgés de 4 à 5 ans, marchants, à l'exclusion de ceux porteurs de délétions dans les exons 8 et/ou 9 du gène de la dystrophine (DMD). Elle ne s'applique pas en Europe.

[Une minute pour comprendre : la microdystrophine \(vidéo\)](#)

Une approbation accélérée pour l'Elevidys, sous conditions

L'analyse [d'un essai clinique de phase 2](#) du SRP-9001 a montré une augmentation significative de la production de microdystrophine trois mois après l'administration du traitement : près de 75 % des fibres musculaires issues de muscles des patients traités (âgés de 4 à 7 ans) sont positives. La production de dystrophine est le critère d'évaluation retenu par la FDA pour répondre favorablement à la demande d'autorisation accélérée de Sarepta. En effet, cette production laisse supposer une certaine efficacité clinique chez les patients traités. Les premiers résultats d'efficacité dans deux autres essais du SRP-9001 chez les 4 à 7 ans ne sont pas encore suffisants et en apporter la preuve est une condition incontournable pour que l'autorisation devienne pérenne. C'est l'objectif de l'essai confirmatoire de [phase 3 EMBARK](#) en cours chez des patients âgés de 4 à 8 ans : les résultats sont attendus d'ici 2024.

Des effets indésirables non négligeables






Certains participants traités avec l'Elevidys ont dû faire face des événements indésirables : des problèmes hépatiques aigus graves, une myosite d'origine immunitaire et une myocardite ainsi que des nausées, des vomissements, une augmentation des enzymes du foie, de la fièvre, une baisse des plaquettes sanguines...

« Cette autorisation accélérée exceptionnelle accordée par l'agence du médicament américaine permet de lever un tabou de la thérapie génique de la myopathie de Duchenne. Même s'il faudra attendre les résultats complets des études de phase 3 en cours pour confirmer cette autorisation pour l'Elevidys et son extension en Europe, il n'y a pas de doute que d'autres produits suivront. Cette avancée a aussi été rendue possible par la collaboration des différents acteurs, dont Généthon (par ailleurs partenaire de Sarepta pour son propre produit) à un moment clé des essais cliniques. Il est important aussi de préciser que l'accès à l'Elevidys ne sera pas possible pour tous les malades, notamment du fait des délais de commercialisation et de distribution et aussi du fait qu'une part non négligeable des malades ont déjà été exposés au virus utilisé comme base de l'Elevidys et auront développé des anticorps neutralisants. »

Serge Braun, Directeur scientifique de l'AFM-Téléthon

Quatre autres produits de thérapie génique par microdystrophine en essais cliniques

À côté de Sarepta Therapeutics, quatre autres laboratoires développent de telles thérapies géniques, dont Généthon, le laboratoire de l'AFM-Téléthon, promoteur d'un essai clinique en cours qui évalue le GNT-0004 en France (un quatrième patient sera bientôt traité). Chaque produit a des spécificités (les régions du gène choisies pour former la microdystrophine, le vecteur qui transporte le gène médicament, son immunogénicité...) qui pourraient les rendre plus adaptées à certains patients qu'à d'autres, pour répondre aux besoins thérapeutiques de chacun.

Microdystrophine	Pré-clinique	PHASE I	PHASE II	PHASE III
GNT-0004 <i>Généthon</i>				
SRP-9001 <i>Sarepta Therapeutics</i>	Approuvé (États-Unis) 			
PF-069399926 <i>Pfizer</i>				
SGT-001 <i>Solid Biosciences</i>				
RGX-202 <i>Regenxbio</i>				

Source

[Sarepta Therapeutics Announces FDA Approval of ELEVIDYS, the First Gene Therapy to Treat Duchenne Muscular Dystrophy](#)

Sarepta Therapeutics, communiqué de presse, 22 juin 2023

[Voir les Avancées de la recherche dans les BDMD](#)

Actualité AIM

<https://www.institut-myologie.org/2023/06/29/eleidys-un-premier-medicament-de-therapie-genique-microdystrophine-autorise-dans-la-dmd-sous-conditions/>

Eleidys, un premier médicament de thérapie génique microdystrophine autorisé dans la myopathie de Duchenne, sous conditions

Le laboratoire Sarepta Therapeutics a annoncé le 22 juin 2023 l'obtention d'une autorisation de mise sur le marché de la FDA pour l'Eleidys (delandistrogène moxeparavec-rokl ou SRP-9001), son produit de thérapie génique microdystrophine dans la myopathie de Duchenne, selon le processus d'approbation accéléré.

- Cette autorisation s'applique aux garçons atteints de DMD, âgés de 4 à 5 ans, marchants, à l'exclusion de ceux porteurs de délétions dans les exons 8 et/ou 9 du gène de la dystrophine (*DMD*). Elle ne concerne pas l'Europe.
- La décision d'approbation accélérée de la FDA est basée sur la production effective de dystrophine dans les muscles des patients traités, mesurée 3 mois après l'administration de produit dans [un essai de phase 2](#).
- mais elle reste conditionnée à la mise en évidence par le laboratoire Sarepta d'une efficacité clinique : [l'essai confirmatoire de phase 3 en cours, EMBARK](#), devra en apporter la preuve (résultats attendus d'ici 2024).
- Des effets indésirables ont été observés chez les patients : troubles hépatiques aigus graves, myosite immunitaire, myocardite, nausées, vomissements, augmentation des enzymes du foie, fièvre, baisse du taux de plaquettes...

Source

[Sarepta Therapeutics Announces FDA Approval of ELEVIDYS, the First Gene Therapy to Treat Duchenne Muscular Dystrophy](#)

Sarepta Therapeutics, communiqué de presse, 22 juin 2023