

Dystrophie musculaire de Duchenne

Actualité AFM

[Myopathie de Duchenne : l'Europe dit « oui » au vamorolone | AFM Téléthon \(afm-telethon.fr\)](#)

Myopathie de Duchenne : l'Europe dit « oui » au vamorolone

Après les États-Unis, c'est au tour de l'Europe d'autoriser la mise sur le marché du vamorolone (Agamree®) dans la dystrophie musculaire de Duchenne, à partir de l'âge de quatre ans, avec un lancement commercial progressif qui commencera par l'Allemagne.

Le vamorolone a été développé par les laboratoires *Santhera* et *Reveragen* dans la [dystrophie musculaire de Duchenne](#) (DMD) pour son action anti-inflammatoire. Avec l'autorisation de mise sur le marché (AMM) européenne qui vient de lui être accordée, il intègre le panel de produits stéroïdes qui pourront être prescrits dès l'enfance (prednisone, prednisolone, deflazacort) pour ralentir la progression de la maladie.

Une autorisation attendue

La Commission européenne a suivi l'avis du Comité des Médicaments à Usage Humain (CHMP) de l'Agence européenne du médicament (EMA) qui s'était prononcé le 13 octobre dernier en faveur de l'approbation de l'Agamree® chez les patients atteints de DMD, dès l'âge de 4 ans (au lieu de 2 ans pour l'AMM américaine). Les experts se sont appuyés sur [les résultats d'essais cliniques du vamorolone menés chez des enfants de 4 à 7 ans](#) atteints de DMD obtenus sur plus de 2 ans (une étude comparative vamorolone/prednisone et trois autres essais à long terme), comme [les autorités de santé américaines un peu plus tôt](#).

Une commercialisation progressive en Europe

Après l'Allemagne, premier pays européen dans lequel le médicament devrait être commercialisé au premier trimestre 2024, ce sera au tour d'autres pays. En France, où l'accès anticipé avant l'AMM avait été refusé, des demandes sont en cours auprès de la Haute Autorité de Santé afin de permettre une mise à disposition rapide du médicament sans attendre l'issue de la négociation du prix.

Sources :

[L'AGAMREE de Santhera® \(vamorolone\) approuvé dans l'Union européenne pour le traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne](#). Santhera, Communiqué de presse, 18 décembre 2023

[Santhera Receives Positive CHMP Opinion Recommending Approval of AGAMREE® \(vamorolone\) for the Treatment of Duchenne Muscular Dystrophy](#). Santhera, Communiqué de presse, 13 octobre 2023

Actualité AIM

<https://www.institut-myologie.org/2023/12/20/le-vamorolone-agamree-desormais-autorise-en-europe-dans-la-dmd-des-lage-de-4-ans/>

Le vamorolone (Agamree®) désormais autorisé en Europe dans la myopathie de Duchenne dès l'âge de 4 ans

Le vamorolone (suspension buvable, 40 mg/ml) est un stéroïde de synthèse dit « dissociatif » développé par les laboratoires *Santhera* et *ReveraGen*, dans la dystrophie musculaire de Duchenne (DMD), comme traitement anti-inflammatoire alternatif aux corticoïdes classiques.

- L'Union européenne vient de valider l'AMM du vamorolone chez les patients atteints de DMD, dès l'âge de 4 ans, s'appuyant sur les résultats de quatre essais chez des patients âgés de 4 à 7 ans, dont une étude comparative avec la prednisone.
- [Les résultats de ces études du vamorolone](#) vont dans le sens d'effets fonctionnels positifs proches de ceux des corticoïdes habituellement utilisés.
- La commercialisation en Europe du médicament se fera progressivement et l'Allemagne ouvrira le bal. En France, où l'accès anticipé avant l'AMM avait été refusé, des demandes sont en cours auprès de

la Haute Autorité de Santé pour faciliter la mise à disposition du médicament sans attendre l'issue de la négociation du prix.

Sources :

[*L'AGAMREE de Santhera® \(vamorolone\) approuvé dans l'Union européenne pour le traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne. Santhera, Communiqué de presse, 18 décembre 2023*](#)

[*Santhera Receives Positive CHMP Opinion Recommending Approval of AGAMREE® \(vamorolone\) for the Treatment of Duchenne Muscular Dystrophy. Santhera, Communiqué de presse, 13 octobre 2023*](#)