

Dystrophie musculaire de Duchenne

Actualité AFM

[DMD : l'EMA maintient son avis négatif sur le Translarna | AFM Téléthon \(afm-telethon.fr\)](#)

DMD : l'EMA maintient son avis négatif sur le Translarna

Après réexamen des résultats du Translarna dans la myopathie de Duchenne, le comité scientifique de l'Agence européenne des médicaments (EMA) confirme sa recommandation de ne pas renouveler l'AMM du médicament, du fait d'un rapport bénéfice-risque négatif.

Depuis [près de 10 ans](#), le Translarna (ataluren) est disponible en Europe comme traitement dans la [myopathie de Duchenne](#), pour les patients dont la maladie est causée par une anomalie génétique de type « non-sens » dans le gène de la dystrophine et qui sont capables de marcher. Au long des renouvellements successifs de son autorisation de mise sur le marché (AMM) « conditionnelle », aucune preuve d'efficacité assez solide scientifiquement n'a pu être définitivement apportée.

Une absence d'efficacité selon l'EMA

A la demande de l'EMA, un [essai confirmatoire de phase III](#) en double aveugle et [le registre STRIDE](#) de suivi des patients européens traités, avaient été mis en place par le laboratoire *PTC Therapeutics*, concepteur du médicament, en parallèle des autres essais en cours, afin d'en avoir le cœur net. Mais, résultats de ces essais à l'appui, le Comité des médicaments à usage humain ([CHMP](#)) [s'était prononcé le 15 septembre 2023](#) contre le renouvellement de l'AMM conditionnelle du Translarna.

À la demande de *PTC Therapeutics*, le CHMP a réexaminé toutes les données disponibles (qu'il a estimées complètes) sur le médicament et vient de rendre un avis similaire, le 26 janvier 2024.

Dans son argumentaire, il conclut à un rapport bénéfice-risque du Translarna négatif et précise que :

- l'efficacité du médicament dans l'essai de phase III n'a pas été démontrée chez les patients dont la capacité à la marche décline et qui devraient bénéficier davantage du traitement par rapport aux autres patients inclus. Aussi, les valeurs obtenues au test de 6 minutes de marche ne sont pas significativement différentes chez les patients traités durant 18 mois comparé à ceux sous placebo.
- si la perte de la marche chez les patients du registre STRIDE traités en vie réelle 5 ans et demi en moyenne par le Translarna, intervient environ 3,5 ans plus tard que chez des patients non traités d'un autre registre ([CINRG](#)), il n'est pas possible de conclure que cela est dû au Translarna en raison des incertitudes liées aux données de ces registres.
- d'autres études ont montré un très faible effet du Translarna sur la production de dystrophine.

Pour l'heure, en France...

Cet avis a été transmis à la Commission européenne qui devrait, d'ici deux mois environ, rendre sa décision, probablement dans le même sens. Dans l'attente de celle-ci, les patients français continueront à avoir accès au traitement sans changement. Au-delà, il est trop tôt pour connaître les modalités opérationnelles qui seront appliquées en France.

Sources

[EMA confirms recommendation for non-renewal of authorisation of Duchenne muscular dystrophy medicine Translarna](#)

EMA, Communiqué de presse du 26 janvier 2024

[CHMP Issues Negative Opinion for Renewal of Conditional Marketing Authorization for Translarna™ \(ataluren\) Following Re-examination Procedure](#)

PTC Therapeutics, Communiqué de presse du 25 janvier 2024

Actualité AIM

<https://www.institut-myologie.org/2024/02/05/apres-reexamen-un-avis-toujours-defavorable-du-chmp-pour-lamm-du-translarna-dans-la-dmd/>

Après réexamen, un avis toujours défavorable du CHMP pour l'AMM du Translarna dans la myopathie de Duchenne

Le 15 septembre 2023, le Comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) s'était [prononcé en défaveur du renouvellement de l'AMM du Translarna](#) (ataluren) dans la myopathie de Duchenne (DMD). Développé par le laboratoire *PTC Therapeutics*, le médicament bénéficiait jusqu'à présent, dans la DMD, d'une autorisation de mise sur le marché conditionnelle accordée par l'EMA, pour les patients ayant une mutation « non-sens » du gène *DMD* et capables de marcher.

À la suite d'une demande déposée par le laboratoire, le CHMP a réexaminé les données mais a réitéré sa recommandation de non-renouvellement de l'AMM. Cet avis annoncé par l'EMA le 26 janvier dernier s'appuie sur les résultats de [l'essai de phase III confirmatoire](#) et ceux d'une étude qui compare les données du registre STRIDE et celles du registre du CINRG, associés à tous ceux collectés depuis 10 ans. Les experts du CHMP estiment que les données sont complètes et concluent à un rapport bénéfice-risque du Translarna négatif.

La Commission européenne devrait se prononcer à son tour d'ici deux mois. Dans l'attente de cette décision, les patients français continueront à avoir accès au traitement sans changement ; mais il est trop tôt pour connaître les modalités opérationnelles qui seront appliquées en France après celle-ci.

Sources

[EMA confirms recommendation for non-renewal of authorisation of Duchenne muscular dystrophy medicine Translarna](#)

EMA, Communiqué de presse du 26 janvier 2024

[CHMP Issues Negative Opinion for Renewal of Conditional Marketing Authorization for Translarna™ \(ataluren\) Following Re-examination Procedure](#)

PTC Therapeutics, Communiqué de presse du 25 janvier 2024