

## Dystrophie musculaire de Duchenne

### Actualité AFM

[Myopathie de Duchenne : des données d'efficacité supplémentaires du vamorolone | AFM Téléthon \(afm-telethon.fr\)](#)

**Myopathie de Duchenne : des données d'efficacité supplémentaires du vamorolone**  
*Le vamorolone (Agamree®) confirme son efficacité sur la motricité après un an de traitement chez des garçons atteints de DMD, sans toutefois faire mieux que la prednisone mais en préservant la croissance.*

Le 18 décembre 2023, [le vamorolone \(Agamree®\) recevait une autorisation de mise sur le marché \(AMM\)](#) de l'Agence Européenne du médicament (EMA) pour les garçons atteints de [dystrophie musculaire de Duchenne](#) (DMD) âgés de 4 ans et plus, ajoutant ce stéroïde de synthèse à l'arsenal thérapeutique disponible dans la maladie. Développé par les laboratoires ReveraGen et Santhera, le vamorolone continue d'être évalué dans cette maladie ainsi que dans la dystrophie musculaire de Becker.

Après [de premiers résultats parus en 2022](#), de nouvelles données d'un essai clinique en double aveugle évaluant le vamorolone comparé à la prednisone ou à un placebo ont été publiées en mars 2024. Dans cet essai, 121 garçons atteints de DMD âgés de 4 à 7 ans ont été répartis en six « groupes de traitements » :

- deux groupes ont été traités pendant un an avec 2 mg/kg/jour ou 6 mg/kg/jour de vamorolone ;
- deux autres ont été traités pendant 6 mois avec de la prednisone ou un placebo. Après un mois sans traitement, ils ont été répartis en deux groupes chacun, qui ont reçu 2 mg/kg/jour ou 6 mg/kg/jour de vamorolone pendant les 5 mois suivants.

### Une efficacité du vamorolone sur la motricité proche de la prednisone

Après un an de traitement, le vamorolone à 6 mg/kg/jour préserve la marche, la capacité à se relever du sol, ou la vitesse pour monter 4 marches, de manière plus marquée que la faible dose de 2 mg/kg/jour. Quelle que soit la dose administrée, la comparaison avec le placebo montre un bénéfice significatif du médicament sur la fonction motrice.

Si, sur cette dernière, le vamorolone à 6 mg/kg/jour et la prednisone ont des effets proches, la prednisone semble globalement plus efficace, d'après les données obtenues durant les 6 mois où elle a été comparée au vamorolone. Mais lorsque les participants initialement sous prednisone passent sous vamorolone à forte dose, les bénéfices perdurent jusqu'à la fin de l'essai, faisant aussi la preuve de son efficacité.

### Un impact moindre sur la croissance confirmé après un an

L'essai montre que six mois de prednisone ralentissent la croissance, ce qui n'est pas le cas pour le vamorolone : avec ce médicament (à 2 comme à 6 mg/kg/jour) celle-ci suit un cours normal et ce au moins pendant un an. Chez les participants préalablement traités avec la prednisone, le switch vers un traitement avec le vamorolone permet de revenir à une courbe de croissance normale.

### Une prise de poids avec le vamorolone patient-dépendant

Les auteurs ont souligné la difficulté à statuer sur les effets du produit sur la prise de poids : en effet, elle semble dépendre des patients, d'autant qu'avec la croissance, le poids augmente aussi. Néanmoins, une prise de poids est observée avec 6 mg/kg/jour de vamorolone et avec la prednisone, tandis qu'elle est limitée avec 2 mg/kg/jour de vamorolone. Dans un essai précédent, la prise de poids sur 30 mois de traitement avec le vamorolone existait avec la forte dose, ce qui avait conduit une proportion des participants à diminuer la dose de 6 à 2 mg/kg/jour, permettant un retour à la normale.

Le vamorolone reste bien toléré à long terme, avec un faible impact sur les constantes sanguines, le foie ou encore les biomarqueurs urinaires.

### Sources

[Efficacy and Safety of Vamorolone Over 48 Weeks in Boys With Duchenne Muscular Dystrophy: A Randomized Controlled Trial.](#)

Dang UJ, Damsker JM, Guglieri M. et al.  
Neurology. 2024 Mar 12;102(5):e208112.

[Efficacy and Safety of Vamorolone vs Placebo and Prednisone Among Boys With Duchenne Muscular Dystrophy: A Randomized Clinical Trial.](#)

Guglieri M, Clemens PR, Perlman SJ, et al.  
JAMA Neurol. 2022;79(10):1005–1014.

[Efficacy and Safety of Vamorolone in Duchenne Muscular Dystrophy: A 30-Month Nonrandomized Controlled Open-Label Extension Trial.](#)

Mah JK, Clemens PR, Guglieri M, et al.  
JAMA Netw Open. 2022;5 (1)

---

## Actualité AIM

<https://www.institut-myologie.org/2024/04/17/le-vamorolone-confirme-son-efficacite-sur-un-an-dans-la-dmd-sans-limiter-la-croissance/>

## Le vamorolone confirme son efficacité sur un an dans la myopathie de Duchenne sans limiter la croissance

En 2022 [paraissaient les premiers résultats sur 6 mois](#) d'un essai en double aveugle du vamorolone (Agamree®) versus placebo ou prednisone. Ce stéroïde de synthèse est [autorisé depuis décembre 2023 en Europe](#) dans la dystrophie musculaire de Duchenne dès l'âge de 4 ans. De nouvelles données de cet essai, à un an, viennent d'être publiées.

Un total de 121 participants atteints de DMD âgés de 4 à 7 ans répartis en six cohortes ont été suivis :  
- deux groupes ont été traités pendant un an avec 2 mg/kg/jour ou 6 mg/kg/jour de vamorolone ;  
- deux groupes ont reçu de la prednisone ou un placebo pendant 6 mois, puis ont été répartis en deux groupes chacun traités avec 2 mg/kg/jour ou 6 mg/kg/jour de vamorolone pendant les 5 mois suivants.  
Les résultats montrent que :

- le vamorolone à 6 mg/kg/jour pendant un an préserve les capacités motrices (6 minutes de marche, vitesse pour se relever du sol, pour monter 4 marches...), et mieux qu'à la dose de 2 mg/kg/jour sauf pour les scores mesurés avec l'échelle NSAA où les deux doses sont équivalentes, et ce en comparaison du placebo ;
- la prednisone est plus efficace que le vamorolone (comparaison durant les 6 premiers mois) mais, lorsque les patients prennent ensuite du vamorolone, les bénéfices moteurs sont maintenus jusqu'à la fin de l'essai ;
- la prednisone ralentit la croissance, ce qui n'est pas le cas pour le vamorolone, et le switch vers le vamorolone après 6 mois de prednisone permet de revenir à une courbe de croissance normale ;
- si la prise de poids semble dépendre des patients, elle est observée avec 6 mg/kg/jour de vamorolone et avec la prednisone, et limitée avec 2 mg/kg/jour de vamorolone ;
- le vamorolone reste bien toléré à long terme.

## Sources

[Efficacy and Safety of Vamorolone Over 48 Weeks in Boys With Duchenne Muscular Dystrophy: A Randomized Controlled Trial.](#)

Dang UJ, Damsker JM, Guglieri M. et al.  
Neurology. 2024 Mar 12;102(5):e208112.

[Efficacy and Safety of Vamorolone vs Placebo and Prednisone Among Boys With Duchenne Muscular Dystrophy: A Randomized Clinical Trial.](#)

Guglieri M, Clemens PR, Perlman SJ, et al.  
JAMA Neurol. 2022;79(10):1005–1014.

[Efficacy and Safety of Vamorolone in Duchenne Muscular Dystrophy: A 30-Month Nonrandomized Controlled Open-Label Extension Trial.](#)

Mah JK, Clemens PR, Guglieri M, et al.  
JAMA Netw Open. 2022;5 (1)