

## **LES CORTICOSTÉROÏDES DANS LA DYSTROPHIE MUSCULAIRE DE DUCHENNE :**

### **Note d'orientation relative à la norme de soins de DMD Care UK**

**31 mars 2025**

#### **Annexe A : Vamorolone – Principaux aspects à prendre en considération**

Le vamorolone est un corticostéroïde (CS).

Consulter le «Summary of Product Characteristics (SmPC)» avant toute prescription :  
<https://www.medicines.org.uk/emc/product/15946/smpc>

Le vamorolone est autorisé au Royaume-Uni pour traiter les personnes atteintes de DMD âgées de 4 ans et plus. Le vamorolone a été testé uniquement en tant que traitement quotidien.

Le vamorolone est disponible uniquement en solution liquide.

Le vamorolone a montré un effet similaire à celui des autres corticostéroïdes sur la fonction musculaire.

Le vamorolone a montré un meilleur profil d'effets secondaires que les autres CS en ce qui concerne la croissance et la santé osseuse, après un traitement pouvant aller jusqu'à 30 mois.

Le vamorolone a montré des effets secondaires similaires concernant la prise de poids et la suppression de la fonction surrénalienne. Le vamorolone pourrait avoir un profil d'effets secondaires plus modéré concernant les troubles comportementaux.

Il n'existe aucune donnée sur l'innocuité et l'efficacité à plus long terme du vamorolone dans le traitement de la DMD par rapport aux autres CS.

L'impact à plus long terme du passage de la prednisolone ou du deflazacort au vamorolone sur les effets secondaires n'est pas connu. L'effet possible sur le poids du passage d'un schéma intermittent à une prise quotidienne de vamorolone ou du deflazacort au vamorolone n'est pas connu. La question doit être abordée avec les familles.

Tous comme les autres CS, le vamorolone doit être pris le matin, après le petit-déjeuner.

La dose recommandée de vamorolone est de 6 mg/kg/jour. La dose quotidienne recommandée de vamorolone chez les patients présentant une insuffisance hépatique modérée (de classe B de Child-Pugh\*) est de 2 mg/kg/jour (dose maximale de 80 mg pour une personne pesant 40 kg et plus). Les patients présentant une insuffisance hépatique sévère (de classe C de Child-Pugh\*) ne doivent pas être traités au vamorolone.

\*<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK542308/>

Au Royaume-Uni, la dose maximale autorisée de vamorolone est de 240 mg/jour (équivalent à 6 ml). Un maximum de 240 mg de vamorolone par jour peut être prescrit aux personnes pesant plus de 40 kg.

La dose quotidienne peut être réduite à 4 mg/kg/jour ou à 2 mg/kg/jour en fonction de la tolérance individuelle. Les patients doivent être maintenus à la dose la plus élevée tolérée dans la fourchette posologique.

Le passage à 6 mg/kg/jour de vamorolone permet de réduire le risque de crise surrénalienne chez les patients précédemment sous glucocorticoïdes classiques.

Les individus passant de la prednisolone ou du deflazacort au vamorolone doivent être attentifs aux signes et symptômes d'insuffisance surrénale (suivre les recommandations du groupe de travail sur la surveillance et osseuse de DMD Care UK : <http://tinyurl.com/k6dz2a5v>)

Contrairement aux autres CS, le vamorolone est un antagoniste des récepteurs minéralocorticoïdes (comme la spironolactone/l'eplrenone). Le vamorolone ne doit donc pas être utilisé pour modifier la posologie du traitement les jours les jours où celle-ci doit être adaptée. Un seuil minimum doit être défini en dessous duquel il conviendra de faire un dosage des électrolytes au cours des maladies aiguës, en particulier chez les personnes qui reçoivent un traitement par antagonistes de récepteurs minéralocorticoïdes. Les potentiels effets cardioprotecteurs du vamorolone doivent faire l'objet de recherches plus approfondies.

### **Sur la base des données probantes disponibles à ce jour**

Le vamorolone peut être à privilégier chez les jeunes enfants, lesquels pourraient bénéficier le plus d'un meilleur profil d'innocuité en termes de croissance et de santé osseuse.

Le vamorolone pourrait également être envisagé chez les personnes qui ne recevaient pas d'autres CS, soit par choix de la famille, soit en raison de préoccupations en rapport avec des effets secondaires spécifiques. Compte tenu de l'absence de données probantes à long terme sur le profil d'effets secondaires du vamorolone par rapport aux autres CS, il convient de rester prudent quant aux attentes.

Le passage de la prednisolone ou du deflazacort au vamorolone chez les enfants plus âgés doit être évalué au cas par cas. Les risques et les bénéfices du traitement dans cette tranche d'âge doivent être évoqués avec la personne concernée et les personnes aidantes, en insistant sur les incertitudes actuelles et sur le fait que l'on disposera de plus de données au fil du temps.

Le vamorolone n'a pas fait l'objet d'étude chez les adultes atteints de DMD, bien que des adultes reçoivent aujourd'hui du vamorolone dans les pays où il est déjà autorisé. Aucune donnée n'a été publiée sur l'effet du vamorolone chez les adultes ou sur le passage au vamorolone après plusieurs années de CS. Le rapport bénéfice/risque lié à un changement de traitement en faveur du vamorolone chez cette catégorie de patients doit être soigneusement évalué.



***DMD Care UK est une initiative collaborative qui réunit le John Walton Muscular Dystrophy Research Centre de l'université de Newcastle et Duchenne UK, du réseau britannique UK North Star Network. Elle est financée par Duchenne UK, Duchenne Research Fund et Joining Jack.***

***[www.dmdcareuk.org](http://www.dmdcareuk.org)***