

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/sma-risdiplam-evrysditm-autorise-aux-etats-unis-140505>

SMA : le risdiplam (EvrySDi™), autorisé aux États-Unis

La FDA approuve le risdiplam comme traitement oral de la SMA aux États-Unis. Cette AMM s'applique aux enfants dès l'âge de 2 mois et à l'adulte, SMA de type 1, 2 et 3.

Le risdiplam est une petite molécule issue de la recherche du laboratoire *PTC Therapeutics* et développée par le laboratoire *Roche/Genentech*. Son action via le gène *SMN2* permet la fabrication de la protéine SMN manquante dans [l'amyotrophie spinale proximale liée au gène SMN1 \(SMA\)](#).

Le 7 août 2020, *Roche/Genentech* et le laboratoire *PTC Therapeutics* ont annoncé dans deux communiqués de presse l'autorisation de mise sur le marché (AMM) du risdiplam dans les SMA de type 1, 2 et 3, aux États-Unis, sous le nom commercial EvrySDi™.

Ce médicament se prend par voie orale (c'est une poudre à remettre en suspension) ; il peut être administré dès l'âge de 2 mois et à tous les âges, dans les SMA de type 1, 2 et 3, quelle que soit l'évolution de la maladie.

C'est le 3^{ème} traitement qui reçoit outre-Atlantique une AMM dans la SMA. Pour l'Europe, une demande d'AMM devrait être déposée très prochainement à l'Agence européenne du médicament (EMA).

En France, l'EvrySDi™ peut être prescrit via des [ATU nominatives](#) dans la SMA de type I, à la demande du médecin et après accord des autorités compétentes, tandis que l'ouverture des ATU aux autres types de SMA est attendue.

Un médicament efficace sur la fonction motrice et la fonction respiratoire

La FDA, l'autorité de santé américaine, a basé sa décision d'AMM sur les premiers résultats de deux essais internationaux : l'essai [SUNFISH](#) dans la SMA de type II ou III chez des patients âgés de 2 à 25 ans (essai contre placebo) et l'essai [FIREFISH](#) dans la SMA de type I, auprès de bébés de 2 à 7 mois.

- Chez les plus jeunes (essai FIREFISH), le risdiplam améliore la fonction motrice, en particulier la capacité des enfants à s'asseoir sans aide. La fonction respiratoire est, elle aussi, améliorée puisque 90% des enfants traités atteignent l'âge de 15 mois et plus, sans besoin de ventilation.
- Chez les enfants plus âgés et chez l'adulte (essai SUNFISH), le risdiplam améliore la fonction motrice à 12 mois de traitement en comparaison de patients non traités (sous placebo).
- Le risdiplam a été bien toléré dans les deux essais.

Des essais toujours en cours

Le risdiplam est évalué depuis 2016 sur un large panel de patients atteints de SMA représentatifs de la population concernée par cette maladie (âge, type de SMA, évolution de la maladie) :

- les essais FIREFISH et SUNISH qui se poursuivent ;
- l'essai [JEWELFISH](#) chez des patients âgés de 6 mois à 60 ans et ayant déjà été traités par d'autres molécules comme le nusinersen (Spinraza®), l'olésoxime ou l'AVXS-101 (Zolgensma®) ;
- l'essai [RAINBOWFISH](#) chez des nourrissons de moins de 6 semaines qui n'ont pas encore développé de symptômes (pré-symptomatiques) mais sont diagnostiqués génétiquement atteints de SMA.

Sources

Voir les communiqués de presse du 7 août 2020

Roche/ Genentech :

« [FDA Approves Genentech's EvrySDi \(risdiplam\) for Treatment of Spinal Muscular Atrophy \(SMA\) in Adults and Children 2 Months and Older](#) »

PTC Therapeutics :

« [PTC Therapeutics Announces FDA Approval of EvrySDi™ \(risdiplam\) for the Treatment of Spinal Muscular Atrophy in Adults and Children 2 months and older](#) »

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2020/08/18/le-risdiplam-evrysditm-un-3eme-medicament-autorise-aux-etats-unis-dans-la-sma-de-type-1-2-et-3-des-lage-de-2-mois-et-chez-ladulte-de-tous-ages/>

Le risdiplam (Evrydsi™) : un 3^{ème} médicament autorisé aux États-Unis dans la SMA de type 1, 2 et 3, dès l'âge de 2 mois et chez l'adulte de tous âges.

Le 7 août 2020, les laboratoires *Roche/Genentech PTC Therapeutics* ont annoncé l'autorisation de mise sur le marché du risdiplam dans l'amyotrophie spinale proximale liée au gène *SMN1* (SMA) de type 1, 2 et 3, aux États-Unis, sous le nom commercial Evrydsi™. L'Evrydsi™ est un traitement oral qui peut être administré dès l'âge de 2 mois et à tous les âges, quelle que soit l'évolution de la maladie. Une demande d'AMM devrait être déposée très prochainement à l'EMA.

En France, l'Evrydsi™ peut être prescrit dans la SMA de type I dans le cadre d'ATU nominatives. L'ouverture des ATU aux autres types de SMA est attendue.

Une efficacité sur la fonction motrice et la fonction respiratoire

Les premiers résultats de l'essai [SUNFISH](#) dans la SMA de type II ou III chez des patients âgés de 2 à 25 ans (essai contre placebo) et l'essai [FIREFISH](#) dans la SMA de type I, auprès de bébés de 2 à 7 mois, ont montré :

- chez les plus jeunes (essai FIREFISH) : une amélioration la fonction motrice, en particulier la capacité des enfants à s'asseoir sans aide à 12 mois de traitement et une fonction respiratoire performante, qui permet d'augmenter la durée de vie de la majorité des bébés inclus dans l'essai au-delà de l'âge de 15 mois, sans besoin de ventilation ;
- chez les enfants plus âgés et chez l'adulte (essai SUNFISH), une amélioration la fonction motrice à 12 mois de traitement en comparaison de patients non traités (sous placebo).
- Le risdiplam a été bien toléré dans les deux essais.

D'autres essais en cours

Le risdiplam continue d'être évalué chez des patients atteints de SMA et représentatifs de la maladie (âge, type de SMA évolution de la maladie), avec quatre essais en cours :

- les essais FIREFISH et SUNFISH qui se poursuivent ;
- l'essai [JEWELFISH](#) chez des patients âgés de 6 mois à 60 ans e ayant déjà été traités par nusinersen (Spinraza®), olésoxime ou AVXS-101 (Zolgensma®) ;
- l'essai [RAINBOWFISH](#) chez des nourrissons de moins de 6 semaines qui n'ont pas encore développé de symptômes mais qui ont été diagnostiqués comme atteints de SMA :

Sources

Voir les communiqués de presse du 7 août 2020

Roche/ Genentech : « [FDA Approves Genentech's Evrydsi \(risdiplam\) for Treatment of Spinal Muscular Atrophy \(SMA\) in Adults and Children 2 Months and Older](#) »

PTC Therapeutics : « [PTC Therapeutics Announces FDA Approval of Evrydsi™ \(risdiplam\) for the Treatment of Spinal Muscular Atrophy in Adults and Children 2 months and older](#) »