

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Brève AFM

<https://www.afm-telathon.fr/actualites/sma-nusinersen-efficace-egalement-pour-type-3-140590>

SMA : le nusinersen efficace également pour le type 3

Une nouvelle étude confirme l'efficacité du nusinersen (Spinraza®) chez des adultes atteints d'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1, et plus particulièrement de SMA de type 3.

Le nusinersen (Spinraza®) a été le premier traitement à obtenir, il y a quelques années, [une autorisation de mise sur le marché](#) dans l'[amyotrophie spinale proximale liée à SMN1](#) (SMA). Celle-ci repose sur des résultats d'efficacité du produit sur la fonction motrice obtenus au cours d'essais cliniques menés principalement chez des enfants. [Quelques études du nusinersen chez des adultes atteints de SMA](#) ont été publiées depuis mais elles ne concernent le plus souvent qu'un petit nombre de patients.

Une équipe italienne a réalisé une étude rétrospective sur la tolérance et l'efficacité du nusinersen chez 13 adultes atteints de SMA de type 2 et 103 de type 3, avec un âge médian à la première injection de 34 ans.

Après 14 mois de suivi, les adultes atteints de SMA de type 3 ont vu leur fonction motrice (mesurée par l'échelle fonctionnelle motrice de Hammersmith HFMSE) et leur capacité fonctionnelle des membres supérieurs (mesuré par le test d'évaluation des membres supérieurs RULM) s'améliorer. En revanche, aucun changement significatif n'a été mis en évidence chez les adultes atteints de SMA de type 2 malgré une tendance positive pour le RULM. Cela pourrait être du, d'après les auteurs, au plus faible nombre de participants atteints de SMA de type 2, ne permettant pas de conclure définitivement.

Source

[Nusinersen safety and effects on motor function in adult spinal muscular atrophy type 2 and 3](#)

L Maggi, L Bello, S Bonanno et al.

J Neurol Neurosurg Psychiatry. 2020 (Sept).

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2020/10/16/une-etude-italienne-met-en-evidence-lefficacite-du-nusinersen-sur-une-grande-cohorte-dadultes-atteints-de-sma-de-type-3/>

Une étude italienne met en évidence l'efficacité du nusinersen sur une grande cohorte d'adultes atteints de SMA de type 3

En Italie, le nusinersen (Spinraza®) est disponible pour tous les types (de 1 à 4) d'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 (SMA), même si les essais cliniques qui ont permis de démontrer l'efficacité du produit ont concerné essentiellement des enfants.

Pour bénéficier de plus de données de tolérance et d'efficacité du nusinersen chez des adultes atteints de SMA, une étude rétrospective italienne a été menée chez 13 adultes atteints de SMA de type 2 et 103 de type 3, qui ont été regroupés en 2 catégories : ceux qui sont capables de s'asseoir (mais pas de marcher) ou « *sitters* » et ceux qui peuvent marcher quelques pas sans l'aide d'autrui (de manière indépendante ou avec une aide telle qu'une canne) ou « *walkers* ». L'âge médian à la première injection du nusinersen a été de 34 ans.

Des améliorations dans la SMA de type 3

Après 14 mois de suivi, la fonction motrice (mesurée par la HFMSE) des adultes atteints de SMA de type 3 s'est améliorée, davantage pour les adultes « *sitters* » que pour les « *walkers* ». En ce qui concerne les capacités fonctionnelles des membres supérieurs (mesuré par le RULM), l'amélioration ne concerne que les adultes « *sitters* » (probablement à cause d'un effet plafond chez les *walkers*). Chez les adultes « *walkers* », une amélioration de la capacité vitale a également été observée.

Pas de différence significative dans la SMA de type 2

Pour les adultes atteints de SMA de type 2, les améliorations de la HFMSE ou du RULM ne sont pas significatives. Les auteurs expliquent que le faible nombre de participants atteints de SMA de type 2 ne

permettraient pas de conclure définitivement, même si une stabilisation de la fonction motrice pourrait être considérée comme un effet positif du nusinersen au regard de l'histoire naturelle de la maladie.

Source

[Nusinersen safety and effects on motor function in adult spinal muscular atrophy type 2 and 3](#)

L Maggi, L Bello, S Bonanno et al.

J Neurol Neurosurg Psychiatry. 2020 (Sept).