

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Pas de brève AFM

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2020/10/06/le-nusinersen-reduit-transitoirement-la-fatigue-ressentie-par-les-adultes-atteints-de-sma/>

Le nusinersen réduit transitoirement la fatigue ressentie par les adultes atteints de SMA

L'amyotrophie spinale infantile (ou SMA pour *spinal muscular atrophy*) constitue la deuxième maladie neuromusculaire la plus fréquente chez l'enfant mais touche aussi les adultes. On en distingue quatre types (de I à IV) selon l'âge de début des symptômes et les capacités fonctionnelles maximales atteintes au niveau moteur. Le nusinersen (Spinraza®) a été le premier traitement innovant de la SMA à faire l'objet d'une mise sur le marché en Europe et aux États-Unis avant d'être suivi par le Zolgensma® et l'Evrysdi®. Tous ces produits visent à augmenter la production de la protéine SMN, manquante dans la maladie. Le traitement est d'autant plus efficace qu'il intervient très précocement d'où l'intérêt majeur d'un dépistage de la maladie en période néonatale.

Les adultes atteints de SMA ont depuis peu accès au traitement par nusinersen malgré l'absence de preuves tangibles d'efficacité clinique dans cette population. Dans un article paru en juillet 2020, des cliniciens allemands rapportent leur expérience de prise en charge par nusinersen de 28 adultes atteints de SMA, certains ayant perdu l'usage de la marche, d'autres non. Ils se sont particulièrement intéressés à la fatigue et à son ressenti, à l'aide d'une échelle dédiée, la *Fatigue Severity Scale* laquelle comporte neuf items, tout en prenant en compte aussi les performances motrices (par le test de marche de 6 minutes ou d'autres scores fonctionnels). Si la fatigue était incontestablement améliorée pendant les six premiers mois suivant le début du traitement, cet effet n'est apparu que transitoire.

Source

[Fatigue in adults with spinal muscular atrophy under treatment with nusinersen.](#)

Kizina K, Stolte B, Totzeck A, Bolz S, Schlag M, Ose C, von Velsen O, Kleinschnitz C, Hagenacker T. *Sci Rep.* 2020 (Juillet).10(1):11069.