

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/sma-nouvelle-preuve-efficacite-nusinersen-chez-adulte-140617>

SMA : une nouvelle preuve d'efficacité du nusinersen chez l'adulte

Pour la première fois, une étude du nusinersen chez des adultes atteints de SMA de type III et IV met en évidence des améliorations fonctionnelles au niveau des mains.

Le nusinersen (Spinraza®) a été le premier traitement à [obtenir une autorisation de mise sur le marché](#) dans l'[amyotrophie spinale proximale liée à SMN1](#) (SMA). Si son efficacité a été particulièrement démontrée chez les enfants, le nombre de publications chez des adultes augmentent peu à peu.

Une équipe belge vient apporter sa pierre à l'édifice sur l'efficacité du nusinersen chez des adultes atteints de SMA de type III et IV. Elle vient de mettre en évidence pour la première fois ses bénéfices sur la force de préhension et la fonction motrice des mains, des paramètres importants pour réaliser des activités de la vie quotidienne telles que l'utilisation d'un ordinateur ou d'un fauteuil roulant électrique. Ces résultats émanent d'une étude prospective de 14 mois réalisée auprès de 16 personnes atteintes de SMA de type III et IV dont les données ont été comparées à ceux d'une étude d'histoire naturelle menée chez 48 personnes atteintes de SMA de type II, III et IV. Les scores totaux du MRC (pour *Medical Research Council*), qui évaluent la force de six muscles (abduction de l'épaule, flexion du coude, extension du poignet, flexion de la hanche, extension du genou et dorsiflexion du pied) ont également été significativement améliorés chez les participants atteints de SMA de type III et IV. En revanche, les autres paramètres évalués dans cette étude (fonction motrice globale, fonction respiratoire...), n'ont pas montré de bénéfices significatifs du nusinersen.

Source

[Nusinersen treatment significantly improves hand grip strength, hand motor function and MRC sum scores in adult patients with spinal muscular atrophy types 3 and 4](#)

B De Wel, V Goosens, A Sobota et al.

J Neurol. 2020 (Sept).

Brève AIM

La force des mains améliorée sous nusinersen chez des adultes atteints de SMA

Le nusinersen (Spinraza®), un traitement de l'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 (SMA) disponible depuis 2017 en Europe, a démontré son efficacité au travers d'essais cliniques qui ont concerné en grande majorité des enfants. Petit à petit, des retours d'expériences en « vie réelle » mettent également en évidence des améliorations fonctionnelles chez des adultes sous nusinersen.

Pour apporter de nouvelles données sur ce traitement dans cette population, une équipe belge a conduit deux études :

- l'une prospective sur l'innocuité et l'efficacité du nusinersen pendant 14 mois chez 16 adultes atteints de SMA de type III (14 participants) et de type IV (2 participants),
- leurs données ont été comparées à celle d'une étude rétrospective sur l'histoire naturelle de 48 adolescents et adultes atteints de SMA de type II, III et IV.

Les résultats ont mis en évidence pour la première fois une amélioration significative de la force de préhension et de la fonction motrice des mains des participants. Une amélioration significative des scores totaux du *Medical Research Council* (MRC) a également été rapportée. En revanche, les sept participants encore capables de marcher n'ont pas connu, à 14 mois, d'amélioration significative au test de marche de 6 minutes. D'autres paramètres évalués dans cette étude (fonction motrice globale ou des membres supérieurs, fonction respiratoire...) n'ont également pas montré d'effets significatifs du nusinersen.

Source

[Nusinersen treatment significantly improves hand grip strength, hand motor function and MRC sum scores in adult patients with spinal muscular atrophy types 3 and 4](#)

*B De Wel, V Goosens, A Sobota et al.
J Neurol. 2020 (Sept).*